

瑞博生物 (06938.HK)

siRNA 小核酸领域龙头，潜力 FIC 大单品
FXI siRNA 目标百亿美金市场

买入 (首次)

2026年01月13日

证券分析师 朱国广

执业证书: S0600520070004

zhugg@dwzq.com.cn

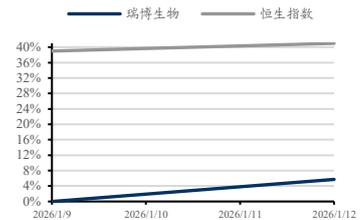
证券分析师 刘若彤

执业证书: S0600525040006

liurt@dwzq.com.cn

盈利预测与估值	2023A	2024A	2025E	2026E	2027E
营业总收入 (百万元)	0.04	142.63	140.00	140.00	140.00
同比(%)		324,052.27	(1.84)	0.00	0.00
归母净利润 (百万元)	(428.35)	(270.15)	(339.79)	(454.41)	(521.73)
同比(%)		36.93	(25.78)	(33.73)	(14.81)
EPS-最新摊薄 (元/股)	(2.58)	(1.63)	(2.05)	(2.74)	(3.15)
P/E (现价&最新摊薄)	(28.60)	(45.35)	(36.06)	(26.96)	(23.48)

股价走势



投资要点

- **中国小核酸领域龙头企业，自研技术具备全球竞争力：**公司成立于2007年，专注于siRNA新药研发，聚焦多个患者众多的慢性疾病领域，是全球为数不多拥有自主知识产权的、且经过临床验证的GalNac递送技术的企业，其RiboGalSTAR™技术平台已与勃林格殷格翰建立战略合作伙伴关系，有望获得最高23.6亿欧元的里程碑付款；肝外递送技术的拓展大幅提升了公司的天花板上限。公司拥有RiboOncoSTAR™和RiboPepSTAR™两大肝外技术平台，处于全球小核酸药物开发头部企业的前沿。
- **小核酸药物技术突破，慢病领域潜力无限：**小核酸药物主要优势为靶标可及性广、靶向性特异性强、研发效率高、给药间隔长，在精准靶向的同时，显著提升慢病患者依从性，打开潜在临床需求。根据弗若斯特沙利文，2024年全球小核酸药物市场规模57亿美元，至2033年预计将达549亿美元，2024-2034年CAGR为21%-29%，进入发展快车道。公司作为国内龙头小核酸领域，将技术壁垒兑现为商业化价值。
- **核心FIC潜力品种FXI siRNA有望打开百亿美金市场空间：**2026年全球血栓性疾病影响约26.7百万人，抗血栓药物市场约700亿美金。针对现有药物临床痛点，公司管线靶向FXI，从机理上有效规避出血风险，且siRNA具备长效和安全性优势。竞争格局方面，公司管线具备FIC潜力，已经率先进入2期临床，目前处于治疗冠状动脉疾病的2a期临床试验中，公司预计将在年内开展2b期临床试验。根据1期临床数据，公司产品展现出较为优异的抗凝效果，且安全性强，未观察到药物相关的严重不良事件，我们判断产品峰值潜力达百亿美金规模。
- **兼备广度与进度的小核酸管线布局：**①2026年血脂异常影响全球30亿人，其中高甘油三酯血症的全球患者约8.6亿人，公司APOC3 siRNA已启动欧盟2期临床，进度位居全球TOP2。②2026年高胆固醇血症全球患者约940万人，公司PCSK9 siRNA在大中华区的独家权利已经授权给国内知名药企齐鲁制药，实现全球价值最大化。③2026年全球乙肝病毒(HBV)感染者约2.8亿人，抗HBV药物市场规模约25亿美金；公司管线HBV siRNA具有实现HBsAg清除的潜力，向功能性治愈迈出了关键一步，并且已经进入2期全球MRCT临床，目标解决临床亟需。④2026年IgAN全球患者约980万人，药物市场规模约88亿美金，公司多款相关管线即将进入临床阶段。
- **盈利预测与投资评级：**公司当前收入主要来自合作授权的里程碑付款，现阶段已有4款候选药物进入临床2期阶段，我们假设于2030年获批上市并开始贡献销售收入，并假设与合作伙伴达成50%:50%分成比例。采用FCFF法对公司进行估值，目标价为114.6元人民币/128.3元港币，对比当前股价86.8港元，仍有约50%空间，首次覆盖，给予“买入”评级。
- **风险提示：**新药研发进展不及预期风险，监管与审批风险，知识产权风险，财务相关风险，估值假设风险。

市场数据

收盘价(港元)	86.80
一年最低/最高价	65.90/95.80
市净率(倍)	-/-
港股流通市值(百万港元)	14,392.61

基础数据

每股净资产(港元)	-0.39
资产负债率(%)	94.1
总股本(百万股)	165.81
流通股本(百万股)	165.81

相关研究

内容目录

1. 我国小核酸领域龙头企业，自研技术具备全球竞争力	5
1.1. 拥有自主研发且经过临床验证的递送技术平台	6
2. 小核酸行业潜力无穷	8
2.1. 小核酸类药物技术突破，慢病领域潜力无限	8
2.2. 商业化潜力强劲且已经进入快速增长期	11
3. 核心 FIC 潜力品种有望打开百亿美金市场空间	13
3.1. 全球抗凝血药物约 700 亿美金大市场，仍存在较大临床痛点和需求	13
3.2. FXI 从靶点机理上有效规避出血风险，siRNA 具备长效和安全性优势	15
3.3. 公司管线具备 FIC 潜力，初步可见疗效优异且安全性良好	16
4. 兼备广度与进度的小核酸管线布局	17
4.1. 高甘油三酯血症	17
4.2. 高胆固醇血症	20
4.3. 乙肝	22
4.4. 肾病	24
5. 盈利预测与投资评级	27
6. 风险提示	27

图表目录

图 1:	公司历史发展历程.....	5
图 2:	公司股权较为稳定 (截至招股书)	5
图 3:	公司拥有自主研发且经过临床验证的递送技术平台.....	7
图 4:	siRNA 的作用机制	9
图 5:	小核酸药物靶标可及性广	10
图 6:	小核酸药物研发效率高.....	10
图 7:	siRNA 的 GalNAc 递送机制	11
图 8:	siRNA 的递送系统形式	11
图 9:	全球小核酸药物市场规模 (十亿美元)	12
图 10:	按药物类型划分的全球小核酸药物市场份额.....	12
图 11:	凝血过程机理.....	13
图 12:	全球抗凝血药物市场规模 (十亿美金)	13
图 13:	血栓性疾病的治疗范式.....	14
图 14:	血栓性疾病的标准治疗药物及临床痛点.....	14
图 15:	FXI siRNA 的作用机理	15
图 16:	FXI 抗原相对于基线的百分比变化平均值	16
图 17:	FXI 活性的百分比变化平均值	16
图 18:	血脂异常相关高风险疾病.....	17
图 19:	全球调脂药物市场规模 (十亿美金)	17
图 20:	血脂异常的治疗范式.....	18
图 21:	APOC3 蛋白机理.....	19
图 22:	APOC3 siRNA 机理.....	19
图 23:	血脂异常的治疗范式.....	21
图 24:	乙肝的治疗周期.....	22
图 25:	全球抗 HBV 药物市场规模 (十亿美金)	22
图 26:	乙肝的临床标注治疗推荐.....	23
图 27:	HBV 的复制及生命周期	24
图 28:	HBV siRNA 的作用机制	24
图 29:	IgAN 在原发性肾病疾病的占比	25
图 30:	全球 IgAN 药物市场规模 (十亿美金)	25
图 31:	IgAN 治疗方案	25
图 32:	补体系统的激活通路及候选药物的机制.....	26
图 33:	公司 C5 siRNA 临床前数据令人鼓舞	26
图 34:	FCFF 估值核心假设	27
表 1:	公司创始团队具备学术+产业背景	6
表 2:	公司部分管线布局.....	8
表 3:	小核酸药物主要类别的特点.....	8
表 4:	小核酸的化学修饰和递送系统类别.....	10
表 5:	全球已上市的 siRNA 药物梳理	12
表 6:	截至 2025 年底 siRNA 药物的竞争格局	12

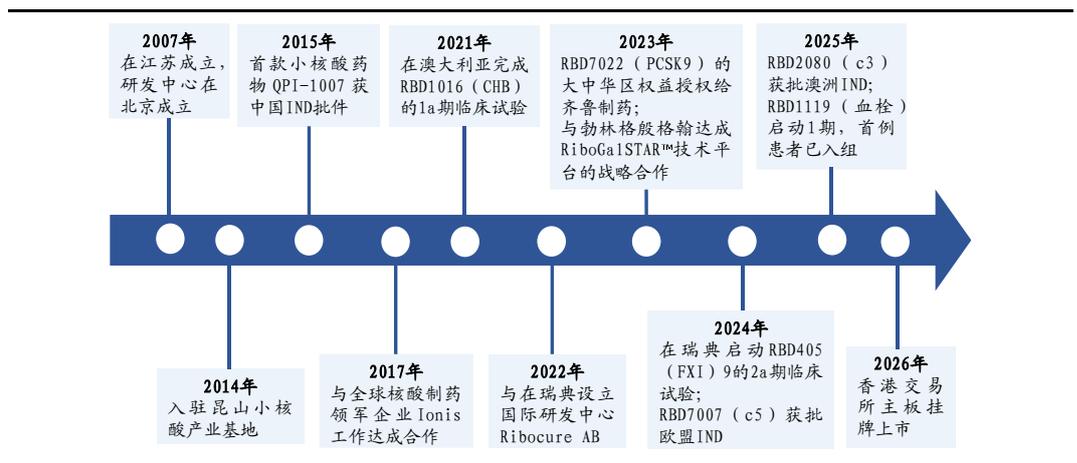
表 7: 全球用于治疗血栓的 FXI siRNA 竞争格局	16
表 8: HTG 的药物治疗主要类别	18
表 9: 全球 APOC3 siRNA 竞争格局	20
表 10: HC 的药物治疗主要类别	20
表 11: 全球 PCSK9 siRNA 竞争格局	22
表 12: 全球 HBV 小核酸竞争格局	24

1. 我国小核酸领域龙头企业，自研技术具备全球竞争力

瑞博生物是一家深耕小核酸药物领域的全球创新型生物制药企业，专注于心血管、代谢类、肾脏和肝脏疾病等重大疾病领域，致力于通过小核酸技术重新定义患者治疗，改善全球数百万受衰弱性疾病影响患者的生活。经过近二十年的深耕，公司已构建起从药物发现、临床前研究、临床试验到商业化的全产业链布局，业务覆盖中国、瑞典、澳大利亚、中国香港等多个国家及地区，成为全球小核酸药物开发领域的领军者之一。

发展历史为（1）**2007-2015年成立初期**，2007年1月在江苏苏州成立，2011-2012年经过重要股权调整，成立持股平台昆山瑞控，并引入重要股东昆山国科。（2）**2015-2022快速融资期**，引入国际小核酸龙头 Ionis 等投资者，启动员工激励计划，完成多轮融资，累计筹资超 76 亿元，支撑了全球研发布局，2021年在瑞典设立国际研发中心 Ribocure AB。（3）**2022-2025年坚实行业地位**，从早期聚焦肝靶向的 GalNAc 递送技术，逐步拓展至肝外递送领域，RiboOncoSTAR™、RiboPepSTAR™等平台相继落地，核心管线 RBD1016、RBD4059 等多款药物推进至临床关键阶段。2023 年与勃林格殷格翰、齐鲁制药达成的重磅合作，更是标志着公司技术与产品获得全球行业龙头认可。

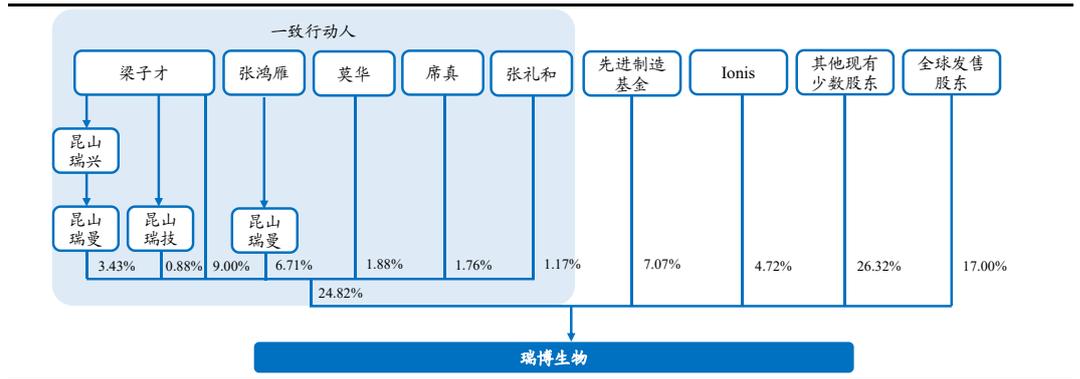
图1：公司历史发展历程



数据来源：公司公告，东吴证券研究所

股权较为稳定。截至公司招股书，全球发售后，一致行动人为公司最大单一股东，共持有公司 24.82% 股份，其中，梁博士直接持股 9.0%。

图2：公司股权较为稳定（截至招股书）



数据来源：公司公告，东吴证券研究所

创始团队具备学术+产业背景。团队成员兼具跨国制药企业高管经验、学术科研背景及资本市场运作能力，其中多人曾在阿斯利康、辉瑞等全球顶尖药企担任核心职务，或在高校、科研机构深耕多年，形成了“学术引领 + 产业落地 + 资本赋能”的复合型管理优势。

表1：公司创始团队具备学术+产业背景

姓名	职务	年龄	入职时间	核心职责/背景
梁子才博士	创始人、董事长、执行董事、首席执行官	61岁	2007年	中国南开大学动物学学士和昆虫学硕士，瑞典乌普萨拉大学生理真菌学博士，牵头中国首个重大siRNA研究项目，发表近140篇科学刊物。曾在美国耶鲁大学分子生物物理与生物化学系担任研究员；被江苏省科学技术厅评为「江苏省双创团队领军人才」，在生命科学、生物技术和制药产业研发和管理经验超过35年。主导公司整体战略规划、技术创新及筹资
甘黎明博士	执行董事、联席首席执行官、全球研发总裁、首席医学官	57岁	2022年	瑞典哥德堡大学医学学士，瑞典哥德堡大学心血管研究和临床生理学博士。曾任阿斯利康心血管、肾脏以及代谢类疾病的全球临床开发负责人及全球副总裁，主导了阿斯利康核酸药物领域的多项重大合作，参与和领导了多种非小分子药物的开发，包括多肽、抗体、ASO、细胞治疗以及mRNA，规划了全球首个化学修饰mRNA的临床试验。主要负责公司的整体研发战略、研发运营、管线开发及监督业务开发活动。
张鸿雁博士	创始总裁、执行董事、总裁	60岁	2007年	中国南开大学动物学学士，瑞典乌普萨拉大学动物生理学博士，美国耶鲁大学分子生物物理与生物化学系博士后。曾任天津法尔玛制药公司董事，瑞典卡罗林斯卡医学院研究员。负责公司全面组织管理和运营，在小核酸领域拥有二十余年的创业经验和专业知识，主导公司创新能力搭建及管线布局。
童成博士	执行副总裁	61岁	2016年	中国兰州大学获得石油化学学士和分析化学硕士，美国佐治亚理工学院获得化学博士。曾在辉瑞任职15年；医药科学的高级总监和海正辉瑞制药研发中心总经理。领导公司的产品开发战略实施、临床前研究、CMC开发及生产能力。
高山博士	高级副总裁兼首席科学官	61岁	2013年	河北医科大学口腔医学学士，中国中南大学湘雅医学院口腔医学硕士，丹麦哥本哈根大学生命科学博士，丹麦奥胡斯大学分子生物学研究所和纳米研究中心博士后。曾任天津医科大学口腔医院任院中心实验室副主任；丹麦奥胡斯大学副教授；中国中南大学客座教授。口腔病理学与医学杂志副主编。负责在公司共同开发突破性技术，例如RNA修饰及递送技术平台；负责管线临床前研究，包括药物发现、药理学研究到转化科学。
Anders Gabriel sen博士	副总裁、全球临床开发负责人	/	2022年	丹麦哥本哈根大学博士。曾在瑞典卡罗林斯卡医学院和卡罗林斯卡大学医院接受过心脏病专家和内科医生培训，专注于转化心血管科学；拥有拜耳、诺华和阿斯利康等领先公司的全球行业经验。负责公司全球临床试验管理，在心血管、肾脏和代谢领域拥有行业专长。
John Taylor 博士	副总经理、全球商务发展负责人	/	/	英国布里斯托尔大学博士，具有DNA-蛋白质识别和生物化学方面的学术背景。曾在阿斯利康康业务部门任职，主导探索和评估以及执行大量交易；曾在辉瑞全球研发部门工作担任项目负责人负责执行创新研发。建立战略合作伙伴关系，在制药、生物技术和学术领域建立的良好联系，对公司的全球合作计划发挥着重要作用。

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

1.1. 拥有自主研发且经过临床验证的递送技术平台

RiboGalSTAR™平台：公司是全球为数不多拥有自主知识产权的、且经过临床验证的 GalNac 递送技术的企业之一，也是第一个中国开发且已经向全球跨国公司对外许可的 RNAi 技术平台。RiboGalSTAR™平台在靶向性、特异性和效率方面有竞争优势。公司的平台化药物开发模式可实现降低新药开发风险并提升研发效率。自主研发的关键技

术成熟，siRNA 药物开发高度平台化，凭借成熟和一体化的研发系统，加上在靶点评估、验证、转化科学、临床开发和 CMC 方面的深厚跨国公司经验，公司已经能够实现加速药物开发并提高研发成功率。公司已从全球主要监管机构获得 IND/CTA 批准，缩短了候选药物从靶点选择到临床试验启动的周期。仅在 2024 年，公司就获得了来自监管部门的五个 IND/CTA 批准，包括四个 2 期临床试验。

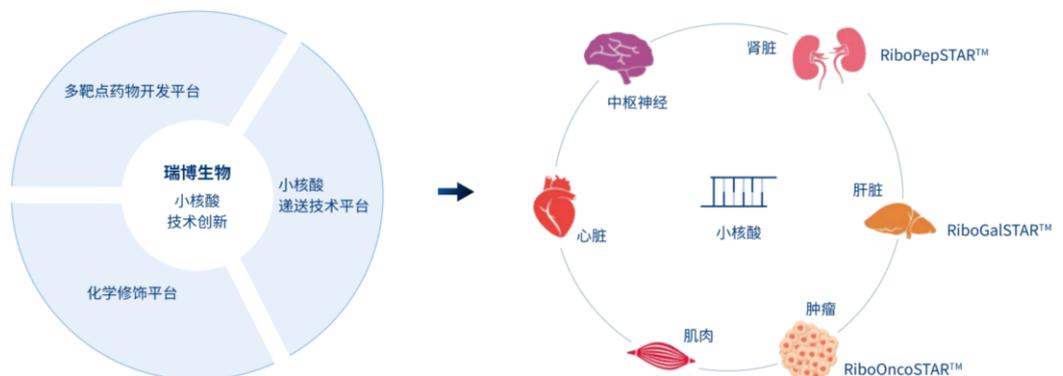
MNC 平台授权的成功经验: 2023 年，公司与勃林格殷格翰建立战略合作伙伴关系，获得合共最高 23.6 亿欧元的里程碑付款。该合作系利用公司的 RiboGalSTAR™ 技术，开发用于治疗 MASH 的新型 siRNA 疗法。不仅体现了公司技术的全球领先地位和认可度，同时彰显了公司平台技术在持续创造价值方面的潜力。

专利壁垒: 公司在复杂的知识产权格局中构建强大的技术竞争壁垒。作为该领域的先行者之一，我们在核酸技术领域构建了全球强大的知识产权组合。截至招股书，公司在全球共有 473 件专利及专利申请，包括 255 件已授权专利，涉及 siRNA 序列、化学修饰、递送、分子结构、联合疗法和临床应用等，以保护公司的技术和药物资产。

肝外递送: 公司亦正将技术拓展至肝脏以外的脏器及组织，一系列靶向肝外器官及组织的递送技术，包括实体瘤、肾脏、CNS 和脂肪细胞及肌肉等代谢组织，以扩大产品开发的疾病领域范围，包括常见慢性疾病，例如心血管、代谢类、肾脏及肝脏疾病和炎症性疾病。1) **RiboOncoSTAR™:** 利用缀合递送技术的领先肿瘤靶向平台，已有一款用于治疗神经胶质瘤的处于临床前申报试验阶段的候选药物；2) **RiboPepSTAR™:** 通过靶向分子缀合实现对多种肝外器官的靶向递送，在肾脏及中枢神经系统递送应用上在多种疾病模型观察到优于现有疗法的药效，处于全球小核酸药物开发头部企业的前沿。

RSC 瑞博稳定化修饰平台: 自主研发的化学修饰平台，增强靶点特异性，实现了有效、持续的基因抑制，显著提高了药物的安全性和可开发，同时保护核酸免于降解，最大限度地减少脱靶效应和免疫原性。

图3: 公司拥有自主研发且经过临床验证的递送技术平台



数据来源: 公司公告, 东吴证券研究所

研发管线布局全面且进度较快: 截至招股书，公司已将 7 款自研 siRNA 候选药物

推进到临床阶段,其中4款处于二期临床阶段,成为小核酸药物开发领域的全球领军者。除临床产品管线之外,公司亦有超过20个计划推进到临床开发阶段的临床前项目,每年能够将2-4个资产推进至临床阶段。

表2: 公司部分管线布局

治療領域	化合物	靶點/作用機制	適應症	臨床前	臨床前申報試驗階段	I期	II期	III期	商業權利	司法管轄區*
心血管、代謝和腎臟疾病	RBD4059 ★	FXI	血栓性疾病				3		全球	歐盟、中國、美國
	RBD5044	APOC3	高甘油三酯血症				4		全球	歐盟、中國、美國
	RBD7022	PCSK9	高膽固醇血症						全球 (除中國地區外) ¹	歐盟、美國
	RBD7007	C5	腎病 ²						全球	歐盟、中國、美國
	RBD2080	C3	腎病 ²						全球	歐盟、中國、美國
	RBD1119	血栓相關因子	血栓性疾病						全球	歐盟、中國、美國
	SR122	降脂	血脂異常						全球	不適用
	RBD3103	抗腎損傷	腎病					5	全球	不適用
肝病	RBD1016	HBV-X	CHB						全球	歐盟、中國、美國
			CHD				6		全球	歐盟、中國、美國
其他治療領域	RBD8088	偶聯抗腫瘤藥物	神經膠質瘤						全球	不適用

★ 核心產品

数据来源: 公司公告, 东吴证券研究所

2. 小核酸行业潜力无穷

2.1. 小核酸类药物技术突破, 慢病领域潜力无限

小核酸是化学合成的、短的(通常为15-25个核苷酸)核酸序列,用于调节基因表达水平,进而调控相应的蛋白质功能,是通过mRNA转录水平调节达到治疗疾病目的一种直接方法。小核酸药物主要包括1)小干扰RNA(siRNA),是短双链RNA分子,当作为外源性治疗药物递送至细胞内时,可通过激活细胞内源性RNA干扰(RNAi)机制特异性降解靶标mRNA,已成为小核苷酸药物研发的前沿领域。其强大的靶基因特异性沉默能力,加上能够靶向过往不可成药靶点的潜力,使其成为治疗从罕见遗传病到慢性疾病及癌症等多种疾病的有效工具。2)反义小核酸(ASO),是单链RNA或DNA分子,可以和互补mRNA结合,通过多种机制调节蛋白质水平及功能。3)适配体,折叠形成特定的三维结构,以高亲和力和特异性结合靶标蛋白,从而阻断蛋白功能。

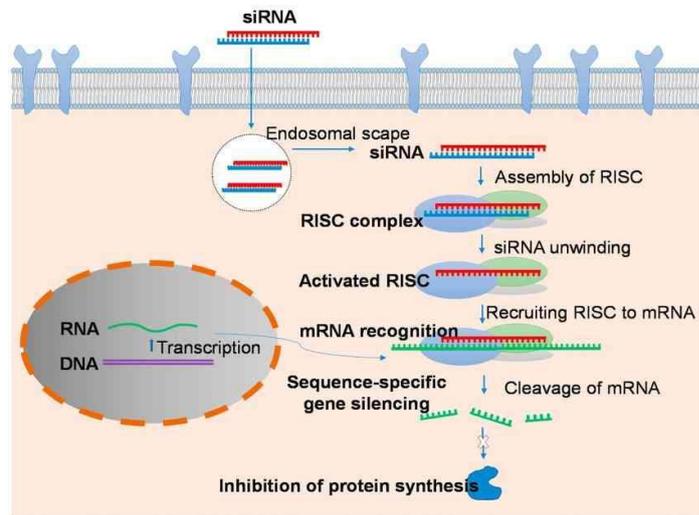
表3: 小核酸药物主要类别的特点

类别	ASO	siRNA	miRNA	Aptamer
长度组成	18~30个核苷酸，单链	19~23个碱基对，双链	约22个核苷酸，双链（前体为单链）	20~100个核苷酸，单链
作用机制	RNase H介导的靶mRNA降解；形成空间位阻，阻碍蛋白翻译等	切割mRNA	抑制/裂解mRNA	抑制目标蛋白质的生物活性
优势	<ul style="list-style-type: none"> 高特异性 合成方便 功能多样 递送容易 	<ul style="list-style-type: none"> 高特异性 高活性 低免疫原性 合成方便 	<ul style="list-style-type: none"> 与人体miRNA功能类似，将其导入病理细胞，可恢复其正常生理功能 	<ul style="list-style-type: none"> 高特异性 高亲和力 低免疫原性 低生产成本
局限性	<ul style="list-style-type: none"> 脱靶效应 药效一般比抗体弱 	<ul style="list-style-type: none"> 脱靶效应 	<ul style="list-style-type: none"> 由于低互补性，miRNA常常与靶基因不完全配对，可同时调控多个靶基因的表达 	<ul style="list-style-type: none"> 相比抗体药物，疗效不占优势
首次获批	1998	2018	未上市	2004
商业化	获批药物数量最多，13款获批上市，是核酸药物的重要领域	7款siRNA药物上市，是核酸药物的研究热点	尚未有药物获批，但有多项进入临床试验	仅有2款获批，商业化不成功

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

siRNA 的作用机制。 siRNA 是人工合成的短双链 RNA 分子，其生物学机制是利用了荣获诺贝尔奖的 RNAi 机制，RNAi 过程涉及三个连续步骤：1) 前体 RNA 通过 Dicer 酶加工形成短双链 RNA 分子（20-25 个核苷酸的微 RNA），作为基因沉默的功能单元；2) 这些微 RNA 分子加载到 RNA 诱导沉默复合体（RISC）中，实现双链解离，仅保留一条链作为引导链；3) 该引导链引导 RISC 结合靶 mRNA，导致 mRNA 的翻译受到抑制并降解，此过程称为基因沉默。

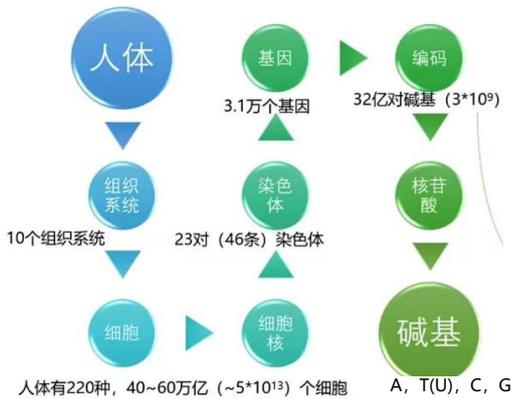
图4: siRNA 的作用机制



数据来源：《ChemBioChem》，东吴证券研究所

siRNA 优势：通过独特的 RNAi 机制，1) siRNA 疗法可通过精准设计沉默几乎任何基因，为解决过往不可成药靶点提供了重大机遇；2) siRNA 由于其基于序列的靶向机制，与其他模式相比，具有高特异性、（药效）长久持续，3) 令人鼓舞的临床成功率等优势。

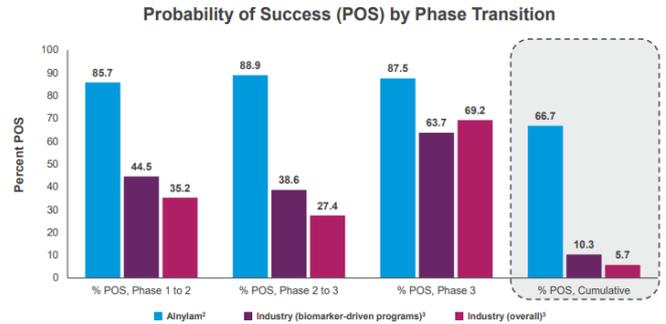
图5: 小核酸药物靶标可及性广



数据来源: 思合基因, 东吴证券研究所

图6: 小核酸药物研发效率高

High-Yield Productivity of Alnylam RNAi Therapeutics Platform
Comparison of Historical Industry Metrics to Alnylam Portfolio¹



数据来源: Alnylam 公告, 东吴证券研究所

siRNA 核心壁垒: siRNA 近年来药物占比的快速提升, 以及对于 siRNA 疗法未来的潜力开发, 集成了几项关键技术 **1) 递送系统**, 以实现细胞摄取和组织靶向; **2) 化学修饰**, siRNA 的化学修饰对于治疗成功至关重要, 主要集中在三个关键位置, 糖修饰 (2'-O-甲基和 2'-氟)、主链修饰 (硫代磷酸酯键) 和末端修饰 (3'和 5'端), 以增强稳定性并减少脱靶毒性; **3) siRNA 合成与筛选技术**, siRNA 的序列设计不仅着重于与靶向疾病基因互补的 RNA 序列, 还力求避免潜在作用于其他基因 (已知的其他脱靶效应) 或触发身体的免疫反应, 并尽量挑选同时在啮齿动物、非人灵长类动物和人类体内起作用的序列, 以确保一致的质量。掌握并整合这些核心技术具有多项优势, 包括可将现有平台模块化, 以适应新的靶点和药物产品。

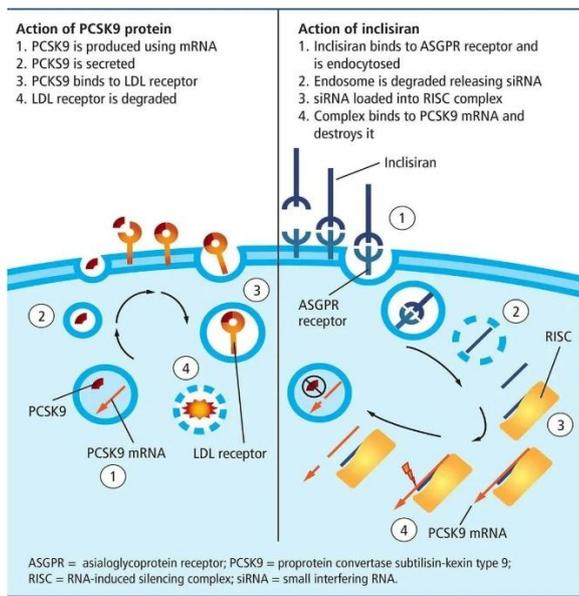
Galnac 递送机理: siRNA 由于分子量大 (~14 千道尔顿)、自身负电荷阻止通过细胞膜, 因此需要专门的递送系统来克服其固有的挑战, 目前肝靶向递送主要有 N-乙酰半乳糖胺 (GalNAc) 偶联物、脂质纳米颗粒, 以及基于聚合物的载体。递送系统旨在保护循环中的 siRNA, 促进细胞进入, 实现内体逃逸, 或实现对特定组织的靶向递送。GalNAc 偶联物已成为临床上成功用于 siRNA 疗法的肝靶向递送系统。这种方法利用了去唾液酸糖蛋白受体 (ASGPR) 在肝细胞上的高表达, 实现了受体介导的内吞作用。GalNAc-siRNA 偶联物具有高效、安全性好、效果持久等优势。

表4: 小核酸的化学修饰和递送系统类别

修饰递送	分类	说明	常见	优点	缺点
化学修饰	骨架	用其他类型集团取代磷酸基团的非桥接氧原子	PS P MO, PNA	提高抗酶碱能力，与血浆蛋白的结合能力，从而延长体内循环时间 提高核酸靶亲和力，抗核酸酶能力和药代动力学特性	诱发炎症反应和肝毒性 与血浆蛋白结合力弱，容易被肾脏清除
	核糖	改变 2' 位或其他核糖位点基团	2'-F; 2'-MOE; 2'-Ome	大大提高核糖核酸酶耐受性，延长核酸半衰期，同时避免PS修饰引发炎症反应，具备更高的安全性和活性。	/
	碱基	取代基修饰或改成碱基替换	m5C; 5-FU; m7G 等	大大提高核酸的稳定性和亲和力，降低免疫质性	/
递送系统	载体	脂质体、聚合物、病毒等	LNPs	克服稳定性差、靶向性弱等体内运输障碍	容易引发过敏等不良反应
	寡核苷酸-配体偶联	与各种功能性分子偶联	GalNAc	解决器官特异性和主动靶向难题	无法解决肝外靶向

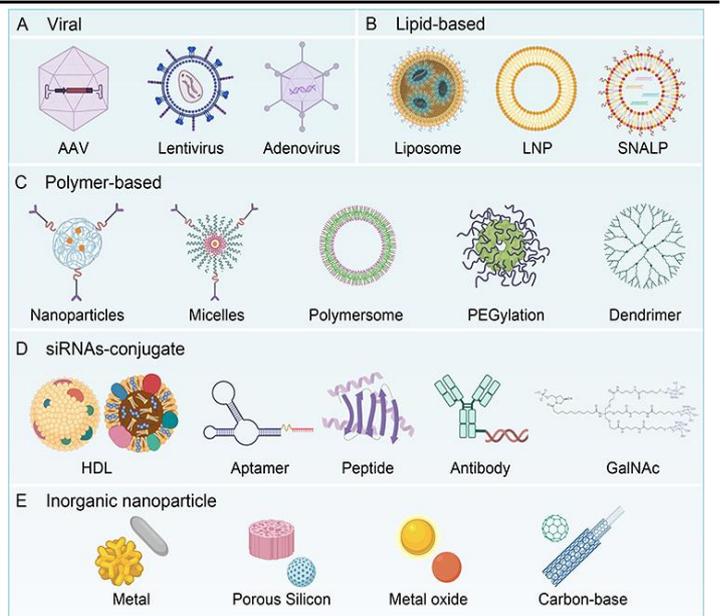
数据来源：公司公告，东吴证券研究所

图7: siRNA 的 GalNAc 递送机制



数据来源：《Practical Diabetes》，东吴证券研究所

图8: siRNA 的递送系统形式



数据来源：《Research Gate》，东吴证券研究所

2.2. 商业化潜力强劲且已经进入快速增长期

小核酸药物当前市场约 60 亿美元，并展现出强劲而持续的增长。根据弗若斯特沙利文，全球小核酸药物市场规模从 2019 年的 27 亿美元增长到 2024 年的 57 亿美元，期间 CAGR 为 16.2%。在技术持续进步、上市批准及临床验证不断增加的推动下，我们预计全球小核酸药物市场将加速增长，根据弗若斯特沙利文，至 2033 年预计将达 549 亿美元，2024-2029 年 CAGR 为 29.4%，2029-2034 年 CAGR 为 21.6%。

siRNA 类小核酸有望实现高速增长。得益于递送系统突破、修饰技术造就稳定性等因素，2019-2024 年间 siRNA 的市场增速高于 ASO 类药物。根据弗若斯特沙利文 2024

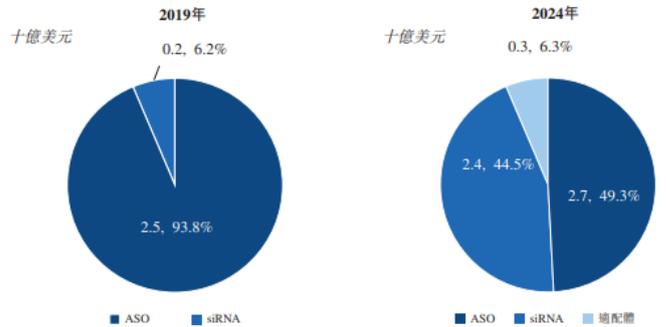
年数据，siRNA 药物占比快速提升至 44.5%，ASO 药物占比 49.3%，适配体占比 6.3%。我们认为 siRNA 药物有望在未来十年占据更大的市场份额，超过其他小核酸药物。

图9：全球小核酸药物市场规模（十亿美元）



数据来源：弗若斯特沙利文，公司公告，东吴证券研究所

图10：按药物类型划分的全球小核酸药物市场份额



数据来源：弗若斯特沙利文，公司公告，东吴证券研究所

全球范围内多款小核酸药物上市，慢病领域中，心脑血管领域率先突破。截至 2025 年底，全球共获批上市 24 款，13 款 ASO 药物、8 款 siRNA 药物、2 款核酸适配体药物。其中遗传罕见病类目是获批最多的适应症类别，16 款小核酸药物是针对遗传罕见病，3 款针对眼科疾病，1 款针对心血管疾病，1 款针对血液肿瘤并发症。

表5：全球已上市的 siRNA 药物梳理

药物名	商品名	公司	药物类型	靶点	靶器官	适应症	上市时间
Patisiran	Onpattro	Alnylam	siRNA	TTR	肝脏	遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性 (hATTR)	美国 2018.08 欧洲 2018.08
Givosiran	Givlaari	Alnylam	siRNA	ALAS1	肝脏	急性肝卟啉症 (AHP)	美国 2019.11
Lumasiran	Oxlumo	Alnylam	siRNA	HAO1	肝脏	1型原发性高草酸尿症 (PH1)	美国 2020.11 欧洲 2020.11
Inclisiran	Leqvio	Alnylam, Novartis	siRNA	PCSK9	肝脏	高胆固醇血症	欧洲 2020.12 美国 2021.12
Vutrisiran	Amvuttra	Alnylam	siRNA	TTR	肝脏	遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性 (hATTR)	美国 2022.06
Nedosiran	Rivfloza	Novartis, Dicerna	siRNA	LDHA	肝脏	原发性高草酸尿症 1 型 (PH1)	美国 2023.09 (≥9 岁, 2025.03 扩展至 ≥2 岁)
Fitusiran	Qfitlia	Alnylam, Sanofi	siRNA	SERPINC1	肝脏	血友病 A/B (HA/HB)	美国 2025.03
Plozasiran	Redempro	Arrowhead	siRNA	APOC3	肝脏	家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)	美国 2025.11

数据来源：各公司官网，东吴证券研究所

小核酸药物整体处于相对蓝海市场。全球 siRNA 疗法市场由少数几个有多年技术和专业知识积累的主要参与者主导，海外企业包括 Alnylam、Arrowhead 等，国内进入临床开发阶段的 siRNA 管线数量最多的公司是瑞博生物和船望制药，其余参与较深的厂家包括悦康药业、前沿生物、福元医药、必贝特、恒瑞医药、石药集团、热景生物、迈威生物、腾盛博药、圣诺医药、阳光诺和、成都先导等。

表6：截至 2025 年底 siRNA 药物的竞争格局

公司	处于临床开发中的 siRNA 资产数量 (2期或以上的数量)	siRNA 药物 上市数量	适应症覆盖范围
Alnylam	15 (8)	6	肝病、神经系统疾病、高血压、肾脏疾病
Arrowhead	18 (5)	1	脂质紊乱、心血管疾病、肝病、罕见病
诺和诺德	9 (3)	1	罕见病、肝病
翱圣制药	7 (5)	/	肝病、脂质紊乱、罕见病、高血压
瑞博生物	7 (4)	/	血栓性疾病、高脂血症、肾脏疾病、肝病
Sanogene	4 (2)	/	心脏代谢性疾病、高血脂、补体介导疾病
Sarepta	4 (1)	/	罕见病
诺华	3 (0)	1	心血管疾病、脂质紊乱
靖因药业	3 (2)	/	血栓/凝血障碍、心血管/脂质紊乱、肥胖症
Silence	3 (1)	/	罕见病、血脂异常
Arbutus	3 (1)	/	乙型肝炎
Wave	1 (0)	/	超重或肥胖

数据来源：FDA，CDE，弗若斯特沙利文，东吴证券研究所，注：蓝底为中国企业

3. 核心 FIC 潜力品种有望打开百亿美金市场空间

抗凝血疾病机理介绍：血栓性疾病包括一系列以动脉或静脉血管内病理性血凝块形成（血栓形成）为特征的疾病。风险因素包括高龄、肥胖、缺乏运动和大手术，而代谢紊乱、心房颤动和癌症等疾病则会大大增加血栓形成的风险。血栓形成是由三个关键的病理生理因素相互作用而引发：内皮损伤（血管壁受损）、瘀血（血流异常）和高凝状态（凝血倾向增强）。

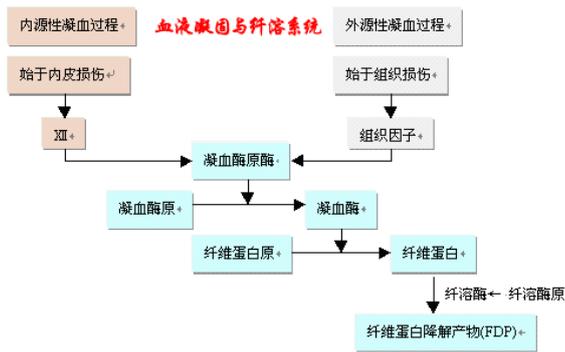
凝血过程病理性激活导致血栓并发症。凝血过程是通过一个复杂但组织有序的级联系统进行。凝血通过两条途径启动：1) **内源性途径**，由与受损血管表面接触触发，主要涉及病理性血栓形成；2) **外源性途径**，当组织损伤使血液暴露于外部因子时，外源性途径会迅速启动保护性凝血的形成，是人体防止过度出血的主要防御手段。两条途径最终汇聚于共同途径，在此过程中，活化因子 X (Xa) 将凝血酶原转化为凝血酶，最终导致纤维蛋白形成并产生稳定的血凝块。而凝血过程的病理激活可导致血栓并发症，动脉血栓形成主要表现为心肌梗死和缺血性脑卒中等急性事件，而静脉血栓形成通常表现为深静脉血栓形成，可导致肺栓塞和其他部位的血栓形成。

3.1. 全球抗凝血药物约 700 亿美金大市场，仍存在较大临床痛点和需求

2026 年全球血栓性疾病影响约 27 百万人，抗血栓药物市场约 700 亿美金。根据弗若斯特沙利文，2024 年全球血栓性疾病的发病人数为 26.7 百万人，预计到 2034 年将达到 29.1 百万人；全球抗血栓药物市场规模从 2019 年的 376 亿美元增长至 2024 年的 593 亿美元，期间 CAGR 为 9.5%，至 2034 年预计将达 1,226 亿美元，2024-2029 年 CAGR 为 8.0%，2029-2034 年 CAGR 为 7.0%。

图 11: 凝血过程机理

图 12: 全球抗凝血药物市场规模（十亿美金）

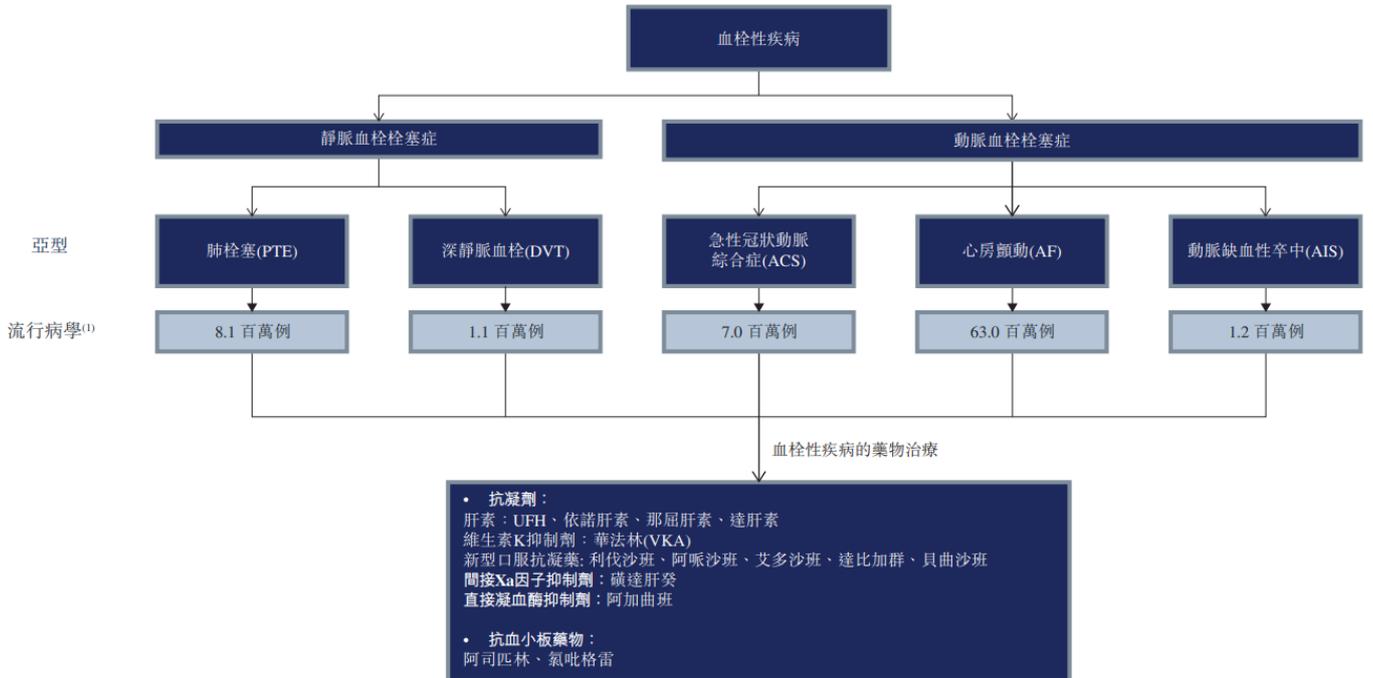


数据来源：病理生理学，东吴证券研究所

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

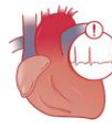
临床痛点：目前血栓性疾病的主要药物治疗是抗凝血剂（包括华法林、肝素、沙班类、直接抗凝血剂等）。而抗血小板药物（如阿司匹林和P2Y12抑制剂）主要用于治疗动脉血栓形成。当前疗法的临床痛点主要在于，**1) 出血风险**，尽管能够有效预防血栓事件，然而大多数药物的作用是非选择性的，既影响凝血的内源性途径，也影响外源性途径以及共同下游途径。这种治疗方法不可避免地会损害正常应对损伤的止血反应，从而导致发生消化道出血和颅内出血等出血并发症的可能性增加。**2) 依从性差**，目前的抗凝血剂通常需要频繁监测或复杂的剂量调整，导致患者依从性差。

图13：血栓性疾病的治疗范式



数据来源：公司公告，东吴证券研究所

图14：血栓性疾病的标准治疗药物及临床痛点

 <p>静脉血栓栓塞</p>	 <p>心源性栓塞性卒中</p>	 <p>接触介入性血栓形成</p>	 <p>动脉血栓形成</p>
<p>SoC: 直接口服抗凝药 (DOACs)、低分子肝素 (LMWH)</p> <p>存在使用阿司匹林, 或未按抗凝指南规范用药的情况</p>	<p>SoC: 直接口服抗凝药 (DOACs)</p> <p>约 50% 的患者因出血顾虑未接受治疗</p>	<p>SoC: 华法林、肝素</p> <p>仍依赖传统治疗方案, 出血风险较高</p>	<p>SoC: 抗血小板治疗、直接口服抗凝药 (DOACs)</p> <p>因出血顾虑, 获批的抗凝药物有限</p>

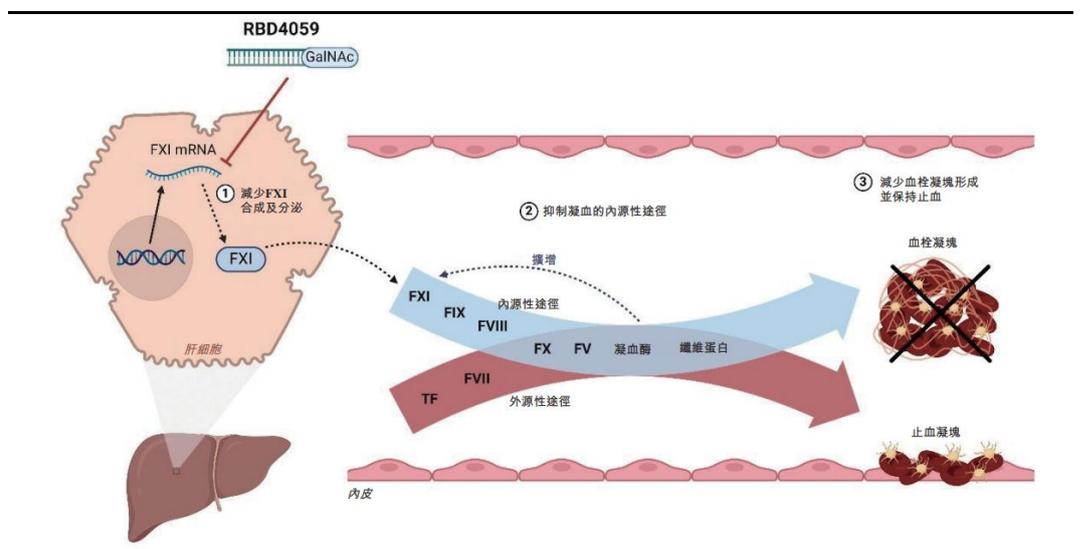
数据来源: 再生元公告, 东吴证券研究所

3.2. FXI 从靶点机理上有效规避出血风险, siRNA 具备长效和安全性优势

FXI 靶点机理规避出血风险。 XI 因子 (FXI) 是一种蛋白质, 在血液凝固或止血过程中起着至关重要的作用, 抑制 FXI 从而特异性阻断内源性凝血通路, 为治疗血栓性疾病提供了关键益处。这种选择性机制, 通过保留正常止血所必需的外源性途径, 可以提供有效的血栓预防, 也可以降低出血风险, 解决血栓性疾病管理中一个关键的未满足的需求。

FXI siRNA 疗法的潜在优势, siRNA 药物通过直接肝脏靶向实现选择性血栓的抑制, 药理作用具有可预测性, 并具有卓越的安全性, 因此有望成为下一代抗血栓药物, 作为持续性的药物暴露, 对于长期预防尤其至关重要。1) **长效性,** 相比于每日给药的小分子药物, siRNA 可以延长给药间隔并实现持续的 FXI 降低, 从而提升患者依从性并降低整体治疗成本; 2) **安全性强,** 相比于抗体, siRNA 药物的合成性质和肝脏特异性递送使其免疫原性更低, 抗药抗体 (ADA) 的产生也更少, 而抗体作为基于蛋白质的药物具有固有的更高免疫原性风险。

图15: FXI siRNA 的作用机理



数据来源: 公司公告, 东吴证券研究所

3.3. 公司管线具备 FIC 潜力，初步可见疗效优异且安全性良好

公司 FXI siRNA 具备 FIC 潜力：截至 2025 年底，各种靶向 FXI 的治疗方式正在临床开发中，包括小分子、抗体和小核酸，目前均未获批；全球共有 4 款用于治疗血栓性疾病的靶向 FXI siRNA 候选药物正在临床开发阶段。公司 RBD4059 (FXI siRNA) 是全球首款用于治疗血栓性疾病的临床阶段的 siRNA 药物。

表7: 全球用于治疗血栓的 FXI siRNA 竞争格局

企业名称	产品名称	适应症	研发阶段	首次公告时间
瑞博生物	RBD4059	稳定的冠状动脉疾病	2期临床	2024年8月
		健康受试者	1期临床	2022年12月
靖因药业	SRSD107	血栓形成	2期临床	2025年8月
圣诺医药	STP122G	健康受试者	1期临床	2023年5月
ADARx	ADX-626	健康受试者	1期临床	2025年7月

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

公司管线竞争优势在于，1) **抗凝效果优异**，在澳大利亚进行的健康受试者 1 期临床试验 (NCT05653037) 显示，RBD4059 显示出有效的剂量依赖性以及 FXI 蛋白活性的持续降低，50mg、150mg、400mg 和 600mg 队列中，FXI 活性相对于基线的平均最大百分比变化分别为 67.5%、81.0%、85.8%和 91.6%，且在第 169 天仍然可观察到持续效果。2) **安全性强**，与标准治疗相比降低了出血风险，1 期实验中所有药物相关治疗出现的不良事件 (TEAE) (16.7%) 为注射部位反应；此外，未观察到 3 级或以上 TEAE 或与药物相关的严重不良事件 (SAE)。即使抑制水平高达 90%以上，也未发现出血风险增加，证实了 RBD4059 作为新型减少出血的抗血栓疗法的潜力。3) **长效作用提升依从性**，有望实现每 3-6 个月的低频给药方案，从而提高患者对慢性血栓性疾病管理的依从性。

临床进度：公司已于 2024 年 10 月完成了 RBD4059 (FXI siRNA) 的 1 期试验，2024 年 8 月在瑞典启动用于治疗冠状动脉疾病的 2a 期临床试验，对照组为标准治疗加低剂量阿司匹林，目前所有患者均已完成治疗。公司预计将于 2026 年启动 RBD4059 的 2b 期试验，以进一步拓展新的适应症，相关实验结果拟用于支持其进入 3 期临床。

图16: FXI 抗原相对于基线的百分比变化平均值

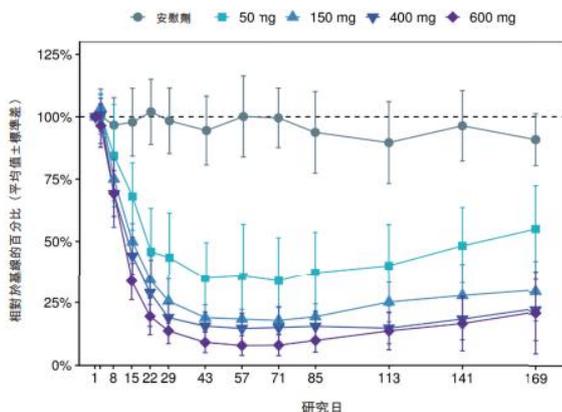
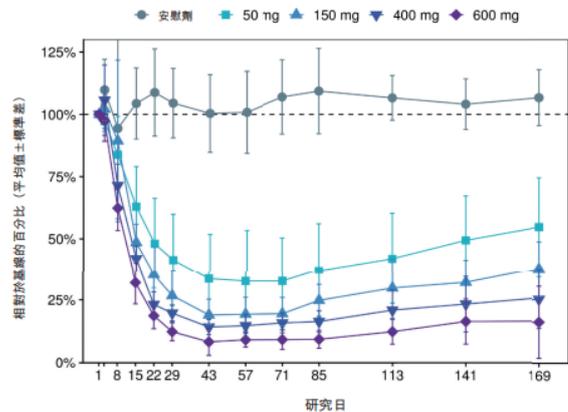


图17: FXI 活性的百分比变化平均值



数据来源：公司公告，东吴证券研究所

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

4. 兼备广度与进度的小核酸管线布局

4.1. 高甘油三酯血症

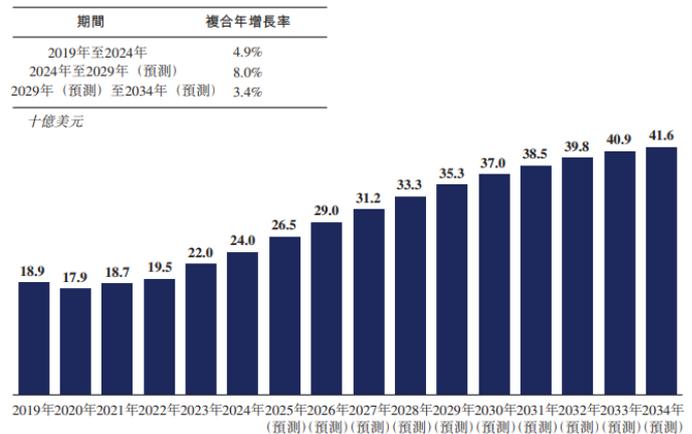
2026年血脂异常影响全球30亿人，药物市场规模达290亿美金。血脂异常是一种以血液中任何或所有脂质（如甘油三酯、胆固醇、磷脂）或脂蛋白水平异常为特征的疾病。在全球范围内，成人血脂异常的患病率估计约为40%，每年影响约30亿人。根据弗若斯特沙利文，2024年，全球血脂异常患病人数达到3,221.6百万人，预计2034年将增至3,672.5百万人。基于如此庞大的患者群体，全球调脂药物市场规模从2019年的189亿美元增长至2024年的240亿美元，预计至2034年将达416亿美元，2024-2029年CAGR为8.0%，2029-2034年CAGR为3.4%。

图18：血脂异常相关高风险疾病



数据来源：大新县人民医院公众号，东吴证券研究所

图19：全球调脂药物市场规模（十亿美元）



数据来源：弗若斯特沙利文，东吴证券研究所

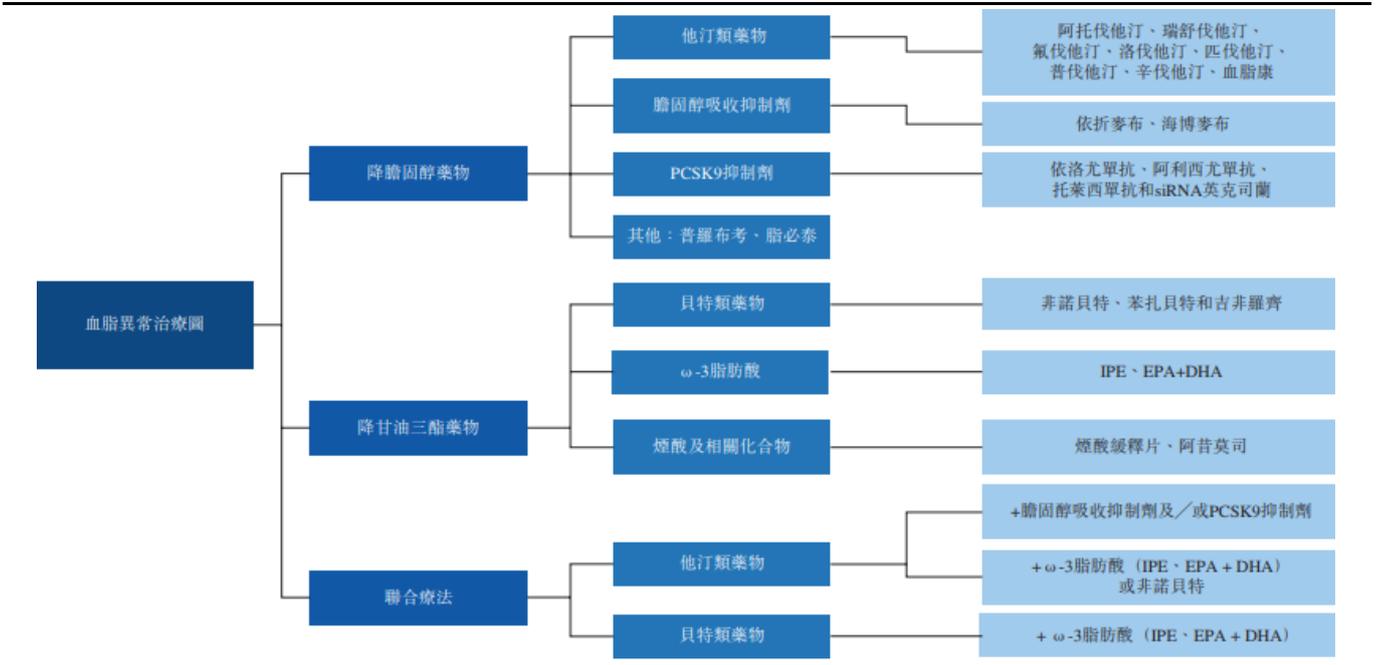
2026年HTG全球患者约8.6亿人。高甘油三酯(HTG)定义为血液甘油三酯(TG)水平升高(TG \geq 1.7mmol/L)，富含TG的脂蛋白颗粒和残余颗粒已被认为是动脉粥样硬化斑块形成和血管损伤的主要诱因，影响全球约25%的血脂异常病例。根据弗若斯特沙利文，2024年全球约有845.6百万人患有HTG，预计2034年将增至913.9百万人。HTG与以心血管疾病、急性胰腺炎为代表的多种疾病密切相关，根据弗若斯特沙利文，约有35%-50%的疾病患者受到HTG的影响。

HTG治疗策略：HTG的治疗策略取决于升高的严重程度和相关情况。当TG水平明显升高（通常TG $>$ 5.6mmol/L）时，贝特类药物通常是主要的药理选择。其他治疗选择包括omega-3脂肪酸和烟酸，尤其是对其他治疗方法不耐受的患者。

现有疗法局限性：1) 约16.2%-26.2%的患者，尤其是重度HTG患者，对贝特类和omega-3脂肪酸的反应不理想；2) 对于胆固醇和TG均升高的混合型血脂异常病例，可能需要进行联合治疗；3) 需每日给药导致患者长期依从性较差；4) 存在肝毒性、肌病、

胃肠道紊乱和胰腺炎等安全性风险。这些局限性凸显了对具有更好风险获益比的新疗法的需求尚未得到满足。

图20: 血脂异常的治疗范式



数据来源: 弗若斯特沙利文, 东吴证券研究所

表8: HTG 的药物治疗主要类别

疗法	作用机制	对严重/难治性 TG 降低的疗效	给药/依从性优势	严重/难治性 TG 的适用性	代表药物	年度费用
靶向APOC3 的疗法	APOC3 沉默; 从源头降低 TG	高	高	高	Waylivra (ASO)、Plozasiran (siRNA)	约450,000美元、约60,000美元
贝特类药物	PPAR α 激动剂; 增强脂解与 TG 清除	中	中	中	Tricor、Lopid	约120-360美元
高强度他汀类药物	HMG-CoA 还原酶抑制剂; 主要降低 LDL-C	中	中	中	立普妥	约100-250美元
ω-3 脂肪酸	减少肝脏 TG 合成	低	中	低	唯思沛	约4,800-5,500美元
ANGPTL3 单抗	抑制 ANGPTL3 以降低 TG/LDL	高	中	中	Evkeeza	约450,000-487,500美元

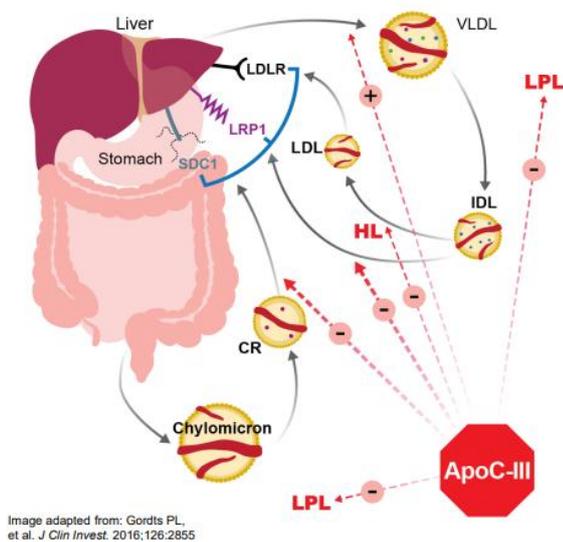
数据来源: 公司公告, 弗若斯特沙利文, 文献综述, 东吴证券研究所

APOC3 靶点机理: 载脂蛋白 C3 (APOC3) 是体内脂质代谢的关键调节因子, 当 APOC3 水平升高时, TG 水平也会提升。APOC3 破坏了正常的脂质水解和清除, 主要通过 1) LPL 依赖性路径, 抑制脂蛋白脂肪酶 (LPL, 一种负责分解 TG 的酶) 以及 2) LPL 非依赖性路径, 干扰肝脏清除富含 TG 的残余脂蛋白; 这导致 TG 在血液中大量积

累，造成 HTG。APOC3 与 TG 代谢之间的密切联系使其成为治疗 HTG 的重要治疗靶点。

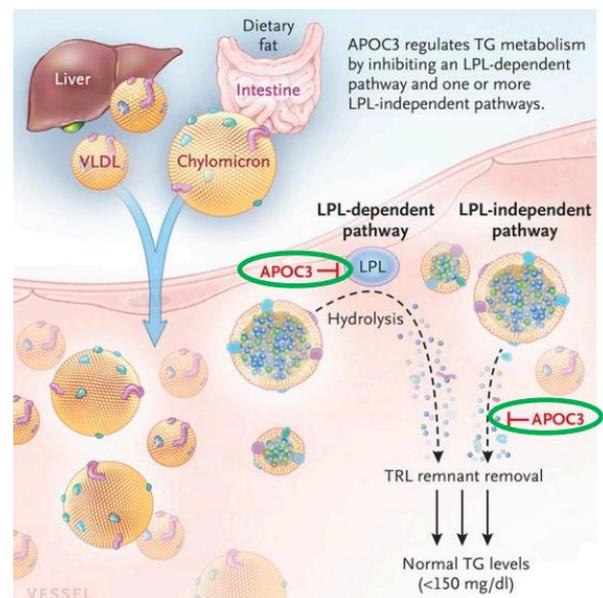
APOC3 siRNA 有望实现调节血液 TG 的突破性效果。APOC3 靶向疗法通过直接抑制脂质代谢的关键调节因数，已成为一种突破性治疗策略。靶向 APOC3 的 siRNA 疗法通过特异性靶向 APOC3 mRNA，可以有效降低 APOC3 蛋白水平，从而消除其对脂质代谢关键酶（如脂蛋白脂肪酶）的抑制作用，并提高富含 TG 的脂蛋白的清除率。APOC3 靶向药物有利于治疗选择有限或对现有疗法反应不足的重症 HTG 患者，并且可与现有疗法互补，具有潜在的临床应用价值。同时，siRNA 的持久药理活性使其能够通过每季度或每半年一次的给药方案，实现长期的 TG 控制，显著提高了患者依从性。

图21: APOC3 蛋白机理



数据来源：《J Clin Invest》东吴证券研究所

图22: APOC3 siRNA 机理



数据来源：《NEJM》，东吴证券研究所

公司 APOC3 siRNA 国内进度 TOP1、全球进度 TOP2：截至 2025 年底，全球仅有 3 款靶向 APOC3 的小核酸药物获批上市，其中 volanesorsen 及 olezarsen 是 ASO 类药物，以及 plozasiran 是 siRNA 类药物，均获批用于治疗家族性乳糜微粒血症综合征(FCS，由乳糜微粒代谢缺陷引起的一种罕见的遗传性严重 HTG)。他们的获批证明了 APOC3 作为治疗靶点在重症 HTG 中的临床有效潜力。截至 2025 年底，全球有 8 款靶向 APOC3 治疗 HTG 的 siRNA 候选药物正在进行临床开发，公司的 RBD5044 (APOC3) 处于国内 TOP1、全球 TOP2 的研发进度。

公司管线优势在于，1) 临床疗效方面，健康受试者 1 期临床数据表明，单次注射 RBD5044 可使 APOC3 大幅降低最高 84%，同时将 TG 降低最高 70%，且在六个月的随访中仍保持在基线水平的 50% 以下。此外，参与者的整体血脂状况也得到改善，包括显著降低残余胆固醇(最高 70%)和 ApoB(最高 20%)，同时显著增加 HDL(最高 40%)。RBD5044 可以至少以每三个月一次的低频率给药，这显著提高了患者对治疗方案的依

从性。2) **安全且耐受性良好**，在所测试的最高剂量下，没有出现剂量依赖性不良事件或肝酶升高，未发生 SAE，未出现暂停给药或退出研究的 TEAE。值得一提的是，高达 150 mg 的 RBD5044 给药没有显示出剂量限制性毒性，支持该产品在临床上更宽的治疗窗以实现强效。

临床进度：公司已于 2024 年 10 月完成了 RBD5044 (APOC3 siRNA) 的 1 期试验，2025 年 1 月在启动欧盟 2 期临床，适应症为混合型血脂异常，主要终点为受试者 TG 水平较基线变化的百分比。

表9：全球 APOC3 siRNA 竞争格局

企业名称	产品名称	全球最高进度	备注
Arrowhead; 赛诺菲; 维亚臻	普乐司兰Plozasiran	申请上市	2025年11月FDA FCS获批上市；25年1月中国同步受理NDA；HTG、严重HTG、存在高危急性胰腺炎的严重HTG处于3期临床中
瑞博生物	SR044	II期临床	2022年1期，2025年1月进入2期
再生元	ALN-APOC3	I/II期临床	2025年1月
大睿生物	RN0361	I/II期临床	2024年6月
甘宝利	Kylo-12	I期临床	
Argenx; Staten; 诺和诺德	ARGX-116 (抗体药物)	I期临床	
恒瑞医药	APOC3 siRNA	I期临床	
礼来	LY3875383	I期临床	

数据来源：公司公告，医药魔方，东吴证券研究所，注：蓝底为中国企业

4.2. 高胆固醇血症

HC 全球患者约 940 万人。高胆固醇血症 (HC) 是最常见的一种血脂异常，典型特征是 LDL-C 升高，伴或不伴总胆固醇升高。HC 可由不良饮食、缺乏运动、肥胖和遗传易感性等因素引起，是心血管疾病的一个重要危险因素，且经常与其他代谢性疾病相关，根据弗若斯特沙利文，约有 33.8%-44.3% 的早发性心血管疾病的患者患有 HC。同时，HC 约占全球血脂异常病例的 27.4%，根据弗若斯特沙利文，2024 年全球约有 935.0 百万人患有 HC，预计 2034 年将增至 1,010.0 百万人。

HC 治疗策略：过往的一线药物是他汀类药物，根据心血管风险评估和降低 LDL-C 的目标选择药物用量；目前靶向疗法包括 PCSK9 靶向药物（例如默克的口服大环肽抑制剂 MK-0616、阿斯利康的口服小分子抑制剂 AZD0780 以及瑞博生物的 PCSK9 siRNA），脂蛋白 (a) 靶向疗法（例如安进/Arrowhead 的 siRNA 候选药物 olpasiran），及靶向血管生成素样蛋白 3 (ANGPTL3) 的疗法（例如礼来公司的 siRNA 候选药物 solinisiran）。

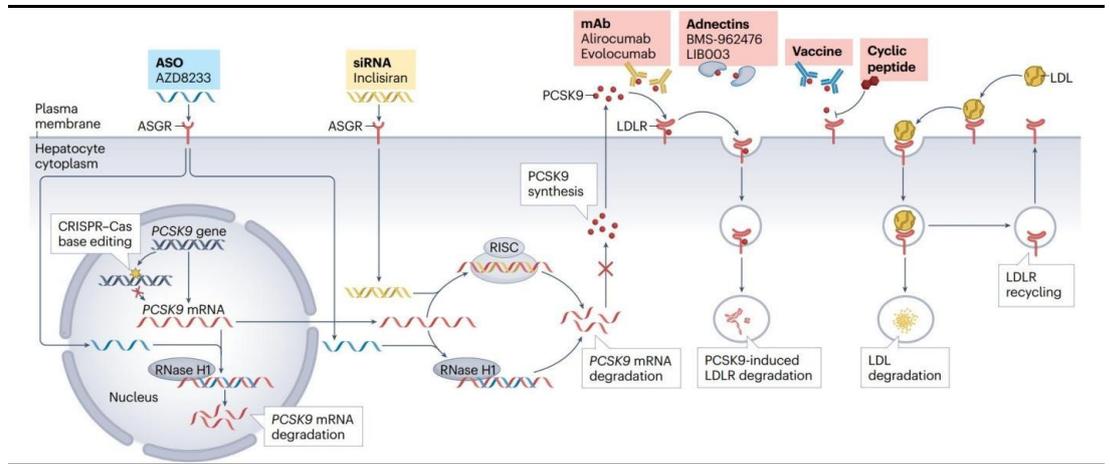
表10：HC 的药物治疗主要类别

疗法	作用机制	LDL-C降低的疗效	给药/依从性优势	他汀类药物不耐受 / 高胆固醇高风险动脉粥样硬化心血管疾病患者的疗效	代表药物	年度费用
靶向PCSK9的疗法	PCSK9 特异性抑制；提高肝脏 LDL 受体表达及 LDL-C 清除	高	高	高	英克司兰 (siRNA)、瑞百安 (单抗)	约6,000-6,500美元
他汀类药物	HMG-CoA 还原酶抑制	中	高	中	立普妥、可定	约150-300美元
依折麦布	NPC1L1 抑制；减少胆固醇吸收	中	高	中	益适纯	约500-2,800美元

数据来源：公司公告，弗若斯特沙利文，文献综述，东吴证券研究所

PCSK9 siRNA 机理： PCSK9 蛋白通过促进肝细胞上低密度脂蛋白 (LDL, “坏胆固醇”的主要载体) 受体的降解，自然调节胆固醇代谢。PCSK9 siRNA 通过靶向和抑制 PCSK9 蛋白的表达，阻止这种降解发挥作用，从而减少了功能性 LDL 受体的分解，增强了 LDL-C 的清除率，从而降低了 LDL 及整体胆固醇水平。临床试验也验证了机制的有效，足以实现显著的 LDL-C 降低(通常为 50%-70%，而他汀类药物一般为 20%-50%，依折麦布为 15%-20%)，并证明对他汀类药物不耐受或无法通过常规疗法达到目标水平的患者特别有效。基于现有的安全性数据和对现有治疗的补充机制，PCSK9 抑制剂为管理高危 HC 患者提供了重要的治疗选择。

图23: 血脂异常的治疗范式



数据来源：《Nature》，东吴证券研究所

公司 PCSK9 siRNA 整体进度领先，相较 Inclisiran 有更加长效的优势： 截至 2025 年底，诺华/Alnylam 的 Inclisiran 是全球唯一获准治疗高胆固醇血症的靶向 PCSK9 siRNA，每 3 个月给药一次，其 2024 年全球销售额达 7.54 亿美元。公司 RBD7022(PCSK9 siRNA) 在全球临床开发的 siRNA 候选药物中跻身临床进度最快的药物之列。公司已于 2025 年 3 月完成受试者 1 期临床试验，初步结果显示，RBD7022 具有强效性及长效性，支持每 6 个月一次的给药频率。

实现全球价值最大化的战略合作：2023年12月，公司授予齐鲁制药在中国大陆、香港和澳门开发、生产和商业化 RBD7022 的独家权利。该战略合作加快了 RBD7022 在中国和全球市场的上市步伐。通过将公司的创新 siRNA 技术与齐鲁制药的临床开发和商业能力相结合，增强了公司为全球患者提供有前景的治疗选择的能力。

表11: 全球 PCSK9 siRNA 竞争格局

企业名称	产品名称	全球最高进度	最高进度首次公告时间
诺华;Alynlam	英克司兰Inclisiran	批准上市	2020-12-09
罗氏;Civi	cepadacursen	II期临床	2019-11-15
阿斯利康;lonis	AZD8233	II期临床	2020-09-14
石药集团	SYH2053	II期临床	2024-11-18
齐鲁制药;瑞博生物	SR043	II期临床	2024-12-19
悦康药业	YKYY015	I/II期临床	2025-10-20
靖因药业	SRSD101	I期临床	2023-11-20
大睿生物	RN0191	I期临床	2023-06-15
圣因生物	SGB-3403	I期临床	2023-05-01
Corsera Health	COR-1004	I期临床	2025-11-14
君实生物;润佳医药	RP910	I期临床	

数据来源：公司公告，医药魔方，东吴证券研究所，注：蓝底为中国企业

4.3. 乙肝

慢性乙型肝炎 (CHB) 是由乙型肝炎病毒 (HBV) 持续感染引起的一种长期肝病。其特点是乙肝表面抗原 (HBsAg) 在血清中持续存在超过六个月。在未经治疗的 CHB 患者中，约有 20%-30% 可能会转化为肝硬化和肝癌。尽管已经有 HBV 疫苗上市，但据估计，在未来十年，全球每年仍有至少 2.6 亿人感染 CHB，使其成为全球范围内一个重大的健康问题。

2026 年全球 HBV 感染者约 2.8 亿人，抗 HBV 药物市场规模约 25 亿美金。根据弗若斯特沙利文，2026 年全球约有 2.79 亿名感染者；全球抗 HBV 药物市场规模从 2019 年的 161 亿美元增长至 2024 年的 209 亿美元，期间 CAGR 为 5.4%，预计至 2034 年将达 778 亿美元，2024-2029 年 CAGR 为 16.5%，2029-2034 年 CAGR 为 11.6%。

图24: 乙肝的治疗周期

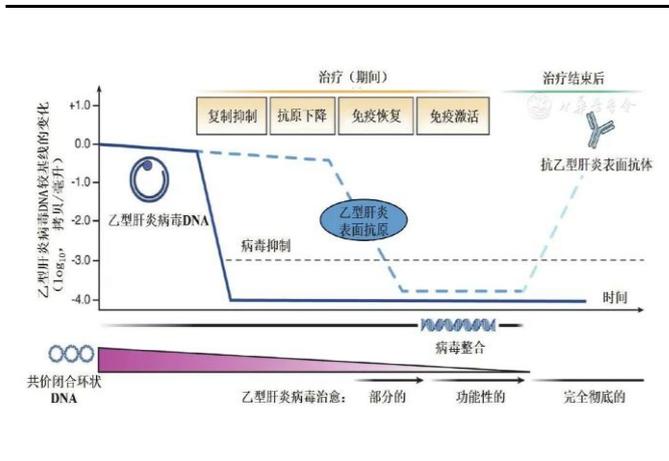
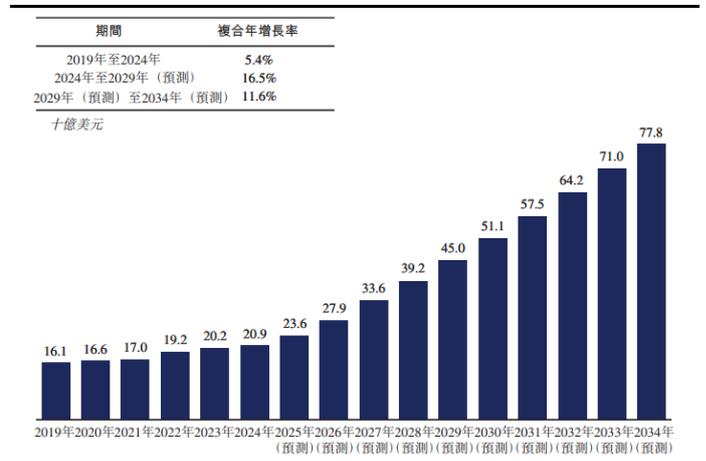


图25: 全球抗 HBV 药物市场规模 (十亿美金)



数据来源：东吴证券研究所

数据来源：弗若斯特沙利文，东吴证券研究所

CHB 治疗策略：目前尚无针对 CHB 的有效实现功能性治愈方法，功能性治愈通常定义为伴有或不伴有抗 HBs 血清转化的持续 HBsAg 丢失。临床标准治疗推荐核苷（酸）类似物（NAs）或干扰素的抗病毒疗法，并在治疗过程中监测疾病进展。NAs，如恩替卡韦、替诺福韦和拉米夫定，通过直接抑制 HBV DNA 聚合酶发挥作用，从而减少病毒复制。它们通常具有良好的耐受性，可以口服，使其成为大多数 CHB 患者首选的一线治疗方法。以干扰素为基础的疗法，特别是聚乙二醇化干扰素- α （PegIFN- α ），可刺激免疫系统对抗病毒，同时具有抗病毒和免疫调节作用。

临床痛点：1) 对于多数慢性 CHB 患者而言，NAs 需长期甚至无限期用药，仅 1%-5% 的 CHB 患者能实现功能性治愈。2) 虽然 PegIFN- α 可以使 CHB 患者（特别是基线 HBsAg 水平较低的患者）获得更高的 HBsAg 清除率，但它通过注射给药，治疗持续时间有限，与 NAs 相比耐受性差，副作用更大。3) 大多数 CHB 患者需要接受长期甚至终身治疗，不能充分降低发展成肝癌和其他严重肝脏并发症的风险。这些局限性凸显了对安全有效、在有限的疗程中提高功能性治愈率的治疗方法的巨大未满足需求。

图26：乙肝的临床标注治疗推荐

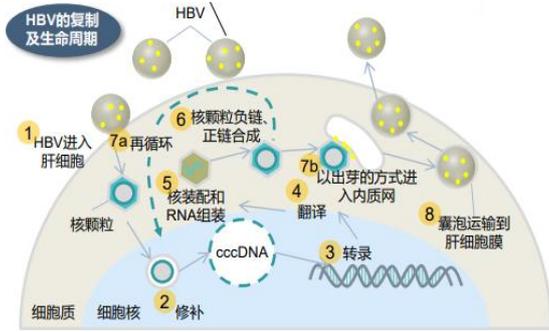
分类	药物	作用机制	推荐疗法
干扰素	干扰素- α 聚乙二醇干扰素- α	激活若干免疫调节和抗病毒蛋白	干扰素- α ：每周三次，6-12个月 聚乙二醇干扰素- α ：每周一次，1年
核苷类似物	恩替卡韦（ETV） 替诺福韦（TDF） 阿德福韦（ADV） 拉米夫定（LAM） 替比夫定（LDF）	DNA聚合酶/逆转录酶抑制剂	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="text-align: center;"> <p>初始治疗 ETV/TDF (0.5mg/300mg每天)</p> <p>↓</p> <p>监控：HBV DNA/ALT</p> <p>超过一年的持续治疗</p> </div> <div style="text-align: center;"> <p>曾使用 LAM/ADV/LDT治疗</p> <p>↓</p> <p>治疗24周</p> <p>↓</p> <p>监控HBV DNA 以优化治疗方案</p> </div> </div>

数据来源：弗若斯特沙利文，东吴证券研究所

HBV siRNA 药物作用机理：HBV 感染肝细胞后，其基因组生产病毒 mRNA，mRNA 编码关键的病毒蛋白，包括乙型肝炎表面抗原（HBsAg）、乙型肝炎 e 抗原（HBeAg）和 HBV DNA 聚合酶，所有这些蛋白在病毒复制、传播和免疫逃避中都起着至关重要的作用。抗 HBV siRNA 药物通过直接干扰 HBV 病毒 RNA 转录物的序列特异性结合，抑制 HBsAg、HBV DNA 和 HBeAg 的产生。

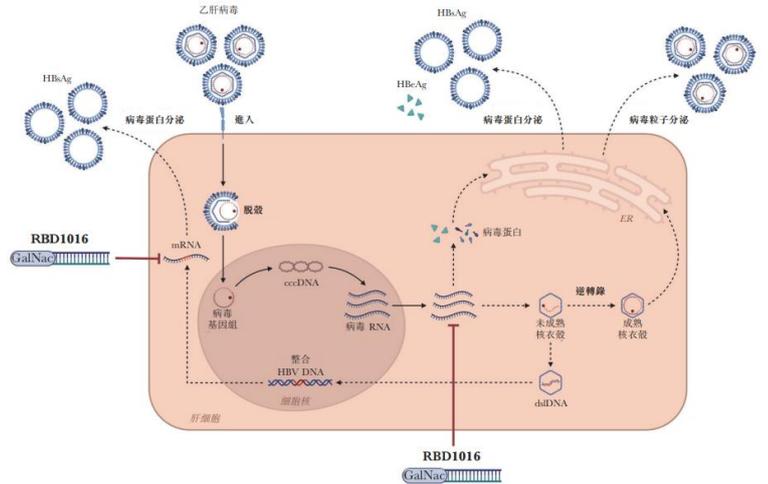
HBV siRNA 的疗法优势：1) 这种独特的作用机制不同于现有治疗的作用机制，可能发挥多重抗病毒作用，特别是抑制 HBsAg，具有实现 HBsAg 清除的潜力，解决了当前 CHB 治疗方式中的一个关键性局限，向功能性治愈迈出了关键一步；2) 相比于每日 NA 给药或每周 PegIFN- α 注射相比，延长半衰期，能够每月或每季度给药，临床试验中 HBsAg 水平降低 $> 2\log_{10}$ 的持续治疗效果；3) 安全性良好；4) 抗 HBV siRNA 的互补作用机制支持与现有治疗的联合治疗方法，与 NA 的近乎终生的治疗相比，可能会在有限疗程中提供更好的治疗结果和预后。因此 siRNA 联用等新型治疗模式是一种很有前景的方法，可通过针对病毒持续存在的关键环节来满足 CHB 治疗中尚未得到满足的巨大需求。

图27: HBV 的复制及生命周期



数据来源: 弗若斯特沙利文, 东吴证券研究所

图28: HBV siRNA 的作用机制



数据来源: 公司公告, 东吴证券研究所

公司 HBV siRNA 已经进入 2 期全球 MRCT 临床, 进度较快。截至 2025 年底, 全球尚未批准任何 siRNA 药物用于治疗 CHB, 全球共有 7 款 HBV siRNA 进入 2 期临床试验及以上阶段。公司的 RBD1016 (HBV siRNA) 目前已经进入 2 期全球 MRCT, 研究的主要终点是安全性以及从基线到随访期第 24 周 HBsAg 水平的最大降幅 (log 值)。公司已完成该实验, 最后一位患者的末次试访已于 2025 年 10 月完成, 正在进行最终的数据分析; 同时公司也在探索 RBD1016 用于治疗丁型肝炎 (CHD) 的潜力, 已于 2024 年 8 月在瑞典启动 2a 期试验, 公司预计于 2026 年底前完成该试验。

表12: 全球 HBV 小核酸竞争格局

企业名称	产品名称	类型	全球最高进度	最高进度首次公告时间
GSK; Ionis	bepirovirsen	ASO	III 期临床	2022-11-30
腾盛博药; Vir; Alnylam	elebsiran	siRNA	III 期临床	2025-03-13
浩博医药	AHB-137	ASO	III 期临床	2025-07-23
瑞博生物	RBD1016	siRNA	II 期临床	2023-07-27
舶望制药	BW-20507	siRNA	II 期临床	2025-04-16
恒瑞医药	HRS-5635	siRNA	II 期临床	2024-05-22
星曜坤泽; 赫吉亚生物	HT-101	siRNA	II 期临床	2024-12-19
GSK; Ionis	GSK3389404	ASO	II 期临床	2017-01-13
Arbutus; 齐鲁制药	imdisiran	siRNA	II 期临床	2021-03-29
Arrowhead	daplusiran	siRNA	II 期临床	

数据来源: 公司公告, 医药魔方, 东吴证券研究所, 注: 蓝底为中国企业

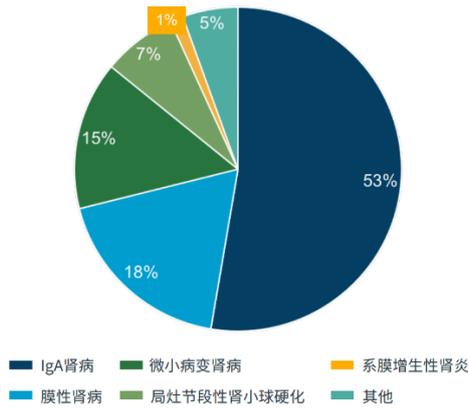
4.4. 肾病

IgA 肾病 (IgAN) 介绍: 肾脏疾病是损害肾脏结构或功能, 导致废物积累、电解质失衡和心血管风险增加的疾病。它们大致可分为急性肾损伤和慢性肾脏病, 全球成年人慢性肾脏病的患病率约为 9.5%。慢性肾病可进一步分为原发性和继发性肾病, 在中国继发性肾病中患者数量最多。IgA 肾病 (IgAN) 是全球最常见的原发性肾小球疾病, 它是一种多因素参与的免疫介导性肾小球肾炎, 由于糖基化异常的 IgA1 免疫复合物在肾小

球系膜区沉积，从而引发一系列炎症反应，导致持续、进行性肾损害。

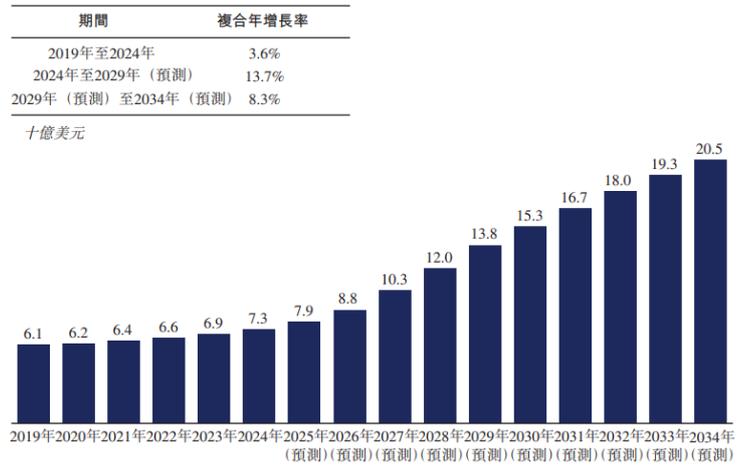
2026 年 IgAN 全球患者约 980 万人，药物市场规模约 88 亿美金。根据弗若斯特沙利文，2024 年全球约有 960 万人受到 IgAN 的影响，预计 2034 年将达到 1,040 万人；全球 IgAN 药物市场规模从 2019 年的 61 亿美元增长至 2024 年的 73 亿美元，期间 CAGR 为 3.6%，预计至 2034 年将达 205 亿美元，2024-2029 年 CAGR 为 13.7%，2029-2034 年 CAGR 为 8.3%。

图29: IgAN 在原发性肾病疾病的占比



数据来源：弗若斯特沙利文，东吴证券研究所

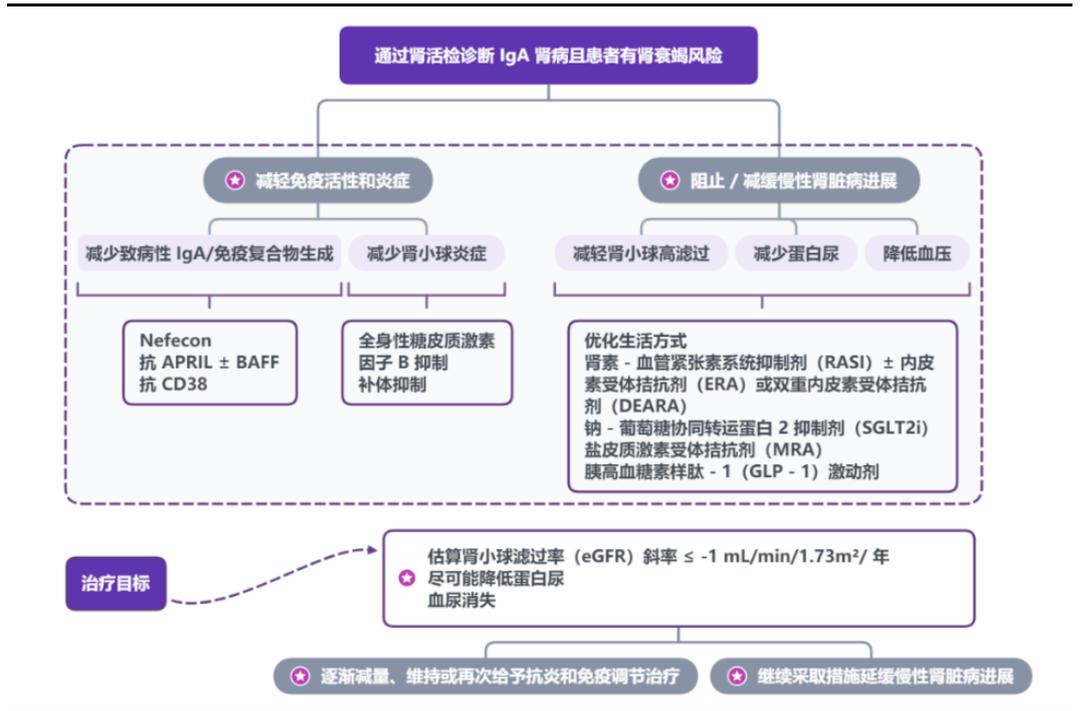
图30: 全球 IgAN 药物市场规模 (十亿美元)



数据来源：弗若斯特沙利文，东吴证券研究所

肾病常规治疗与临床痛点：肾病常规治疗包括皮质类固醇、免疫抑制剂和肾素-血管紧张素系统阻滞剂 (RASi)，但是往往不能提供最佳的疾病控制，因为其不能直接干预相关病理生理机制，如免疫介导的损伤及进行性肾纤维化。此外，在某些患者群体中，长期使用上述药物往往会产生显著不良反应及导致疗效衰减。因此，减少肾小球的免疫损伤的创新药物也是治疗 IgAN 的重要开发方向。

图31: IgAN 治疗方案



数据来源：丁香园，东吴证券研究所

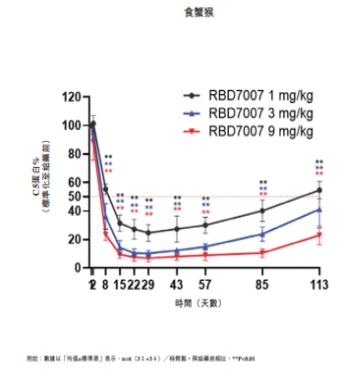
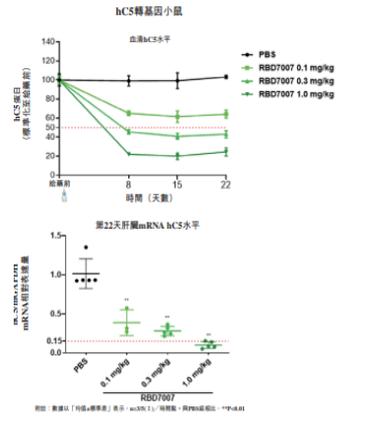
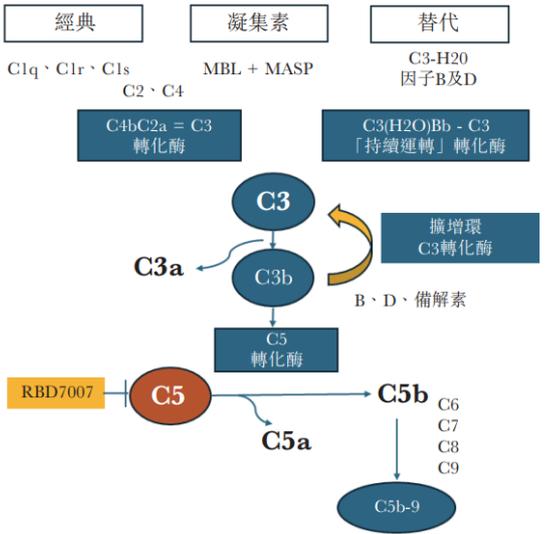
补体系统介绍：补体系统调节先天免疫和适应性免疫。当该系统出现故障时，可导致组织损伤和炎症，引起补体介导的肾脏和自身免疫性疾病，例如 IgAN 和重症肌无力 (MG)，以及其他补体激活反应，从而导致严重的发病率和致残率。补体系统通过 3 条激活通路，经典途径、凝集素途径和替代途径，在肾脏疾病的炎症和纤维化介导中起关键作用。这些途径通过酶扩增聚合，形成 C3/C5 转化酶，最终导致膜攻击复合物 (MAC) 组装，这个复合物进而促进了炎症和细胞破坏。

C3/C5 siRNA 作用机理：针对补体启动的新兴疗法代表了从症状管理到解决根本病理机制的转变。目前的方法包括通过单克隆抗体如依库珠单抗 (C5 抑制剂，获批用于非典型溶血性尿毒综合征) 进行蛋白水平抑制。siRNA 通过靶向补体通路关键蛋白的，有效地降低这些补体蛋白在源头和循环中的水平，以治疗肾脏和自身免疫性疾病。

公司临床前数据令人鼓舞：RBD7007 (C5 siRNA) 显示出了令人鼓舞的临床前证据，支持其临床开发。在食蟹猴和人源化 (hC5) 小鼠的单次皮下注射，展现了对循环 C5 蛋白水平和肝脏 C5 mRNA 表达的有效和持续抑制，具有很强的 PK/PD 相关性。

图32：补体系统的激活通路及候选药物的机制

图33：公司 C5 siRNA 临床前数据令人鼓舞



数据来源：公司公告，东吴证券研究所

数据来源：公司公告，东吴证券研究所

5. 盈利预测与投资评级

- **短期收入：**公司已于国际知名药企勃林格殷格翰建立战略合作伙伴关系，获得合共最高 23.6 亿欧元的里程碑付款；同时与国内知名药企齐鲁制药合作，授予其在中国大陆、香港和澳门开发、生产和商业化 RBD7022 的独家权利。我们预计每年将收到里程碑付款 1-2 亿元。
- **中期发展：**瑞博生物现阶段已有 4 款候选药物进入临床 2 期阶段，我们假设于 2030 年获批上市并开始贡献销售收入，并假设与合作伙伴达成 50%:50%分成比例。

我们采用企业自由现金流贴现法对公司进行估值。FCFF 估值主要依托以下假设：以中国 10 年期国债收益率 1.8%作为无风险利率；小核酸创新药行业贝塔值为 1.7；瑞博生物为生物医药高新技术企业，故所得税率为 15%；参考 Wind 数据库得到港股市场预期收益率约 8%；计算可得股权资本成本为 12.3%；加权平均资本成本为 9.8%。根据公司所披露的临床试验进展，我们推测 4 款临床 2 期阶段产品有望在 2030 年在中国与美国获批上市。最终模型目标价为 114.6 元人民币/128.3 元港币，对比当前股价 86.8 港元，仍有约 50%空间，首次覆盖，给予“买入”评级。

图34：FCFF 估值核心假设

预测期年数	10	债务资本成本Kd	4.0%	股权价值	18998.6
永续增长率g	5%	债务资本比重Wd	31.1%	总股本	165.8
贝塔值 (β)	1.7	股权资本成本Ke	12.3%	每股价值(CNY)	114.6
无风险利率Rf (%)	1.8%	加权平均资本成本WACC	9.6%	每股价值(HKD)	128.3
市场的预期收益率Rm (%)	8%				
有效税率T (%)	15%				

数据来源：东吴证券研究所，注：港元汇率为 2026 年 1 月 11 日的 1.12

6. 风险提示

新药研发进展不及预期风险：公司基于未来发展所需，每年投入大量资金用于药品的研发。药物从实验室研究、中试、获得药品注册批件到正式生产需要经过多个环节的审批，前期的资金、技术投入较大，周期较长，行业进入门槛高。随着国家监管法规、注册法规的日益严格，药品研发存在不达预期以及药品注册周期可能延长的风险。

监管与审批风险：药品监管政策可能发生变化，如审批标准收紧、医保准入规则调整等，将对产品上市及商业化产生不利影响。同时，不同国家和地区的监管要求存在差异，国际化布局需应对多区域合规挑战，增加研发及审批成本。

知识产权风险：公司核心技术和候选药物依赖于知识产权保护。如果公司的知识产权保护不足，或被第三方侵犯，可能会导致公司的核心技术和候选药物失去竞争优势，影响业务发展。同时，专利可能面临挑战，第三方可能会对公司的专利提出无效宣告请求，或通过其他方式挑战本集团专利的有效性、新颖性或创造性。如果公司的专利被宣告无效，或其保护范围被缩小，可能会导致公司的核心技术和候选药物失去专利保护。

财务相关风险：自成立以来持续亏损，尚未实现盈利。截至招股说，公司累计未弥补亏损金额较大，主要源于研发投入、管理费用、销售费用等各项支出。如果公司的候选药物无法成功研发、获得监管批准并实现商业成功，或商业业绩未达到预期，可能会继续面临亏损，无法实现盈利。持续亏损可能会影响本集团的财务状况、融资能力和持续经营能力。

估值假设风险：估值判断基于多项假设，包括新药研发成功率、上市获批时间、市场占有率、销售价格等，存在假设不准确导致估值不准确的相关风险。

瑞博生物三大财务预测表

资产负债表 (百万元)					利润表 (百万元)				
	2024A	2025E	2026E	2027E		2024A	2025E	2026E	2027E
流动资产	269.29	252.07	1,502.74	955.05	营业总收入	142.63	140.00	140.00	140.00
现金及现金等价物	167.87	165.07	1,415.74	868.05	营业成本	11.90	12.00	12.00	12.00
应收账款及票据	3.47	0.00	0.00	0.00	销售费用	0.98	0.98	0.98	0.98
存货	42.72	45.00	45.00	45.00	管理费用	92.51	92.51	97.13	101.99
其他流动资产	55.24	42.00	42.00	42.00	研发费用	280.37	336.44	437.38	524.85
非流动资产	381.57	382.44	394.74	406.43	其他费用	15.12	14.00	14.00	14.00
固定资产	203.17	202.76	202.37	202.00	经营利润	(258.25)	(315.93)	(421.49)	(513.82)
商誉及无形资产	122.88	136.23	148.92	160.97	利息收入	0.00	3.36	3.30	28.31
长期投资	0.00	0.00	0.00	0.00	利息支出	20.40	27.22	36.22	36.22
其他长期投资	0.00	0.00	0.00	0.00	其他收益	21.60	0.00	0.00	0.00
其他非流动资产	55.52	43.45	43.45	43.45	利润总额	(257.05)	(339.79)	(454.41)	(521.73)
资产总计	650.86	634.51	1,897.48	1,361.48	所得税	24.45	0.00	0.00	0.00
流动负债	414.31	565.28	551.28	537.28	净利润	(281.49)	(339.79)	(454.41)	(521.73)
短期借款	226.61	426.61	426.61	426.61	少数股东损益	(11.34)	0.00	0.00	0.00
应付账款及票据	24.23	26.67	26.67	26.67	归属母公司净利润	(270.15)	(339.79)	(454.41)	(521.73)
其他	163.47	112.00	98.00	84.00	EBIT	(236.65)	(315.93)	(421.49)	(513.82)
非流动负债	347.62	520.37	520.37	520.37	EBITDA	(188.21)	(298.88)	(403.79)	(495.51)
长期借款	172.28	372.28	372.28	372.28					
其他	175.34	148.09	148.09	148.09					
负债合计	761.93	1,085.65	1,071.65	1,057.65					
股本	129.61	129.61	161.22	161.22	主要财务比率	2024A	2025E	2026E	2027E
少数股东权益	(0.71)	(0.71)	(0.71)	(0.71)	每股收益(元)	(1.63)	(2.05)	(2.74)	(3.15)
归属母公司股东权益	(110.36)	(450.43)	826.54	304.53	每股净资产(元)	(0.67)	(2.72)	4.98	1.84
负债和股东权益	650.86	634.51	1,897.48	1,361.48	发行在外股份(百万股)	165.81	165.81	165.81	165.81
					ROIC(%)	(66.07)	(99.41)	(42.74)	(37.68)
					ROE(%)	244.79	75.44	(54.98)	(171.32)
					毛利率(%)	91.65	91.43	91.43	91.43
					销售净利率(%)	(189.41)	(242.71)	(324.58)	(372.66)
					资产负债率(%)	117.06	171.10	56.48	77.68
					收入增长率(%)	324,052.2	(1.84)	0.00	0.00
					净利润增长率(%)	7	(25.78)	(33.73)	(14.81)
					P/E	(45.35)	(36.06)	(26.96)	(23.48)
					P/B	(111.02)	(27.20)	14.82	40.23
					EV/EBITDA	(1.23)	(43.11)	(28.81)	(24.59)

数据来源:Wind,东吴证券研究所,全文如无特殊注明,相关数据的货币单位均为人民币,港元汇率为2026年1月11日的1.12,预测均为东吴证券研究所预测。

免责声明

东吴证券股份有限公司经中国证券监督管理委员会批准,已具备证券投资咨询业务资格。

本研究报告仅供东吴证券股份有限公司(以下简称“本公司”)的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为客户。在任何情况下,本报告中的信息或所表述的意见并不构成对任何人的投资建议,本公司及作者不对任何人因使用本报告中的内容所导致的任何后果负任何责任。任何形式的分享证券投资收益或者分担证券投资损失的书面或口头承诺均为无效。

在法律许可的情况下,东吴证券及其所属关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券并进行交易,还可能为这些公司提供投资银行服务或其他服务。

市场有风险,投资需谨慎。本报告是基于本公司分析师认为可靠且已公开的信息,本公司力求但不保证这些信息的准确性和完整性,也不保证文中观点或陈述不会发生任何变更,在不同时期,本公司可发出与本报告所载资料、意见及推测不一致的报告。

本报告的版权归本公司所有,未经书面许可,任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制和发布。经授权刊载、转发本报告或者摘要的,应当注明出处为东吴证券研究所,并注明本报告发布人和发布日期,提示使用本报告的风险,且不得对本报告进行有悖原意的引用、删节和修改。未经授权或未按要求刊载、转发本报告的,应当承担相应的法律责任。本公司将保留向其追究法律责任的权利。

东吴证券投资评级标准

投资评级基于分析师对报告发布日后 6 至 12 个月内行业或公司回报潜力相对基准表现的预期(A 股市场基准为沪深 300 指数,香港市场基准为恒生指数,美国市场基准为标普 500 指数,新三板基准指数为三板成指(针对协议转让标的)或三板做市指数(针对做市转让标的),北交所基准指数为北证 50 指数),具体如下:

公司投资评级:

- 买入: 预期未来 6 个月个股涨跌幅相对基准在 15%以上;
- 增持: 预期未来 6 个月个股涨跌幅相对基准介于 5%与 15%之间;
- 中性: 预期未来 6 个月个股涨跌幅相对基准介于-5%与 5%之间;
- 减持: 预期未来 6 个月个股涨跌幅相对基准介于-15%与-5%之间;
- 卖出: 预期未来 6 个月个股涨跌幅相对基准在-15%以下。

行业投资评级:

- 增持: 预期未来 6 个月内,行业指数相对强于基准 5%以上;
- 中性: 预期未来 6 个月内,行业指数相对基准-5%与 5%;
- 减持: 预期未来 6 个月内,行业指数相对弱于基准 5%以上。

我们在此提醒您,不同证券研究机构采用不同的评级术语及评级标准。我们采用的是相对评级体系,表示投资的相对比重建议。投资者买入或者卖出证券的决定应当充分考虑自身特定状况,如具体投资目的、财务状况以及特定需求等,并完整理解和使用本报告内容,不应视本报告为做出投资决策的唯一因素。

东吴证券研究所
苏州工业园区星阳街 5 号
邮政编码: 215021
传真: (0512) 62938527
公司网址: <http://www.dwzq.com.cn>